



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/658319/2017
EMA/H/C/004281

Riassunto destinato al pubblico

Nitisinone MDK¹

nitisinone

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Nitisinone MDK. Illustra il modo in cui l'Agenzia ha valutato il medicinale arrivando a raccomandarne l'autorizzazione nell'UE e le condizioni d'uso. Non ha lo scopo di fornire consigli pratici sull'utilizzo di Nitisinone MDK.

Per informazioni pratiche sull'uso di Nitisinone MDK i pazienti devono leggere il foglio illustrativo oppure consultare il medico o il farmacista.

Che cos'è e per che cosa si usa Nitisinone MDK?

Nitisinone MDK è un medicinale indicato per il trattamento della tirosinemia ereditaria di tipo 1 (HT-1). Si tratta di una malattia rara nella quale l'organismo è incapace di scomporre completamente l'aminoacido tirosina e si formano sostanze nocive, provocando seri problemi al fegato e cancro del fegato.

Nitisinone MDK viene somministrato con una dieta che limita l'assunzione di aminoacidi denominati tirosina e fenilalanina. Tali aminoacidi sono presenti solitamente nelle proteine di cibi e bevande.

Nitisinone MDK è un "medicinale generico". Questo significa che Nitisinone MDK contiene lo stesso principio attivo e agisce nello stesso modo di un "medicinale di riferimento", già autorizzato nell'Unione europea (UE), denominato Orfadin. Per maggiori informazioni sui medicinali generici, consultare le domande e le risposte cliccando [qui](#).

Nitisinone MDK contiene il principio attivo nitisinone.

¹ Precedentemente noto come Nitisinone MendeliKABS



Come si usa Nitisinone MDK?

Nitisinone MDK può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere iniziato e controllato da un medico esperto nel trattamento di pazienti con HT-1. Il trattamento deve essere avviato il prima possibile e la dose di Nitisinone MDK deve essere regolata in base alla risposta del paziente e al suo peso corporeo.

Nitisinone MDK è disponibile in capsule (2 mg, 5 mg e 10 mg). La dose iniziale consigliata è di 1 mg per chilogrammo di peso corporeo al giorno. Le capsule vengono normalmente ingerite intere, ma possono essere aperte e il contenuto mescolato in una piccola quantità di acqua o soluzione, che va ingerita immediatamente.

Nitisinone MDK è destinato ad un impiego a lungo termine. I pazienti devono essere monitorati almeno ogni sei mesi.

Come agisce Nitisinone MDK?

La tirosina è scomposta nell'organismo da diversi enzimi. I pazienti con HT-1 sono privi di uno di questi enzimi, quindi la tirosina non è adeguatamente eliminata, bensì viene trasformata in sostanze dannose. Il principio attivo di Nitisinone MDK, nitisinone, inibisce un enzima che converte la tirosina in sostanze dannose. Tuttavia, poiché la tirosina non convertita permane nell'organismo durante il trattamento con Nitisinone MDK, i pazienti devono seguire una dieta speciale povera di questa sostanza. La dieta deve essere povera anche di fenilalanina, poiché quest'ultima viene convertita in tirosina nell'organismo.

Quali studi sono stati effettuati su Nitisinone MDK?

Studi sui benefici e sui rischi del principio attivo negli usi approvati sono già stati effettuati col medicinale di riferimento, Orfadin, e non devono essere ripetuti per Nitisinone MDK.

Come per ogni medicinale, la ditta ha messo a disposizione studi sulla qualità di Nitisinone MDK. Inoltre, ha effettuato uno studio che ha evidenziato la sua "bioequivalenza" rispetto al medicinale di riferimento. Due medicinali sono bioequivalenti quando producono gli stessi livelli di principio attivo nell'organismo, per cui è atteso che abbiano lo stesso effetto.

Quali sono i benefici e i rischi di Nitisinone MDK?

Poiché Nitisinone MDK è un medicinale generico ed è bioequivalente al medicinale di riferimento, i suoi benefici e rischi sono considerati uguali a quelli del medicinale di riferimento.

Perché Nitisinone MDK è approvato?

L'Agenzia europea per i medicinali ha concluso che, conformemente ai requisiti dell'UE, Nitisinone MDK ha mostrato di possedere qualità comparabili e di essere bioequivalente a Orfadin. Pertanto, il CHMP ha ritenuto che, come nel caso di Orfadin, i benefici siano superiori ai rischi individuati e ha raccomandato di approvare l'uso di Nitisinone MDK nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Nitisinone MDK?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Nitisinone MDK sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Altre informazioni su Nitisinone MDK

Il 24 agosto 2017 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Nitisinone MendeliKABS, valida in tutta l'Unione europea. La denominazione del medicinale è stata cambiata in Nitisinone MDK il 3 ottobre 2017.

Per la versione completa dell'EPAR di Nitisinone MDK consultare il sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Per maggiori informazioni sulla terapia con Nitisinone MDK, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Anche la versione completa dell'EPAR del medicinale di riferimento si trova sul sito web dell'Agenzia.

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 10-2017.

Medicinale non più autorizzato