



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Orfadin (*nitizinonas*)

Orfadin apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Orfadin ir kam jis vartojamas?

Orfadin – tai vaistas, kuriuo gydomi:

- paveldima 1 tipo tirozinemija (HT-1) sergantys visų amžiaus grupių pacientai, kurie taip pat laikosi dietos apribojimų;
- alkaptonurija (AKU) sergantys suaugusieji.

Šios ligos pasireiškia, kai organizmas negali iki galo suskaidyti tam tikrų aminorūgščių, įskaitant tiroziną. Dėl to kaupiasi kenksmingos medžiagos, kurios gali sukelti sunkių kepenų funkcijos sutrikimų ir kepenų vėžį 1 tipo tirozinemija sergantiems pacientams ir sąnarių ligas alkaptonurija sergantiems pacientams.

Orfadin sudėtyje yra veikliosios medžiagos nitizinono.

Kaip vartoti Orfadin?

Orfadin galima įsigyti tik pateikus receptą. Gydomą šiuo vaistu turi pradėti ir prižiūrėti gydytojas, turintis šiuo vaistu gydomų ligų gydymo patirties. Gaminamos šio vaisto kapsulės ir geriamoji suspensija.

HT-1 sergantiems pacientams rekomenduojama pradinė Orfadin dozė yra 1 mg kilogramui kūno svorio kartą per parą. Po to vaisto dozė koreguojama atsižvelgiant į paciento organizmo reakciją į gydymą ir svorį.

Alkaptonurija sergantiems suaugusiesiems rekomenduojama 10 mg Orfadin dozė per parą.

Daugiau informacijos apie Orfadin vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Orfadin?

1 tipo tirozinemija ir alkaptonurija sergančių pacientų organizme trūksta aminorūgštį tiroziną skaidančių fermentų, todėl jis virsta kenksmingomis medžiagomis. Orfadin veiklioji medžiaga nitizinonas slopina fermentų, kurie paverčia tiroziną kenksmingomis medžiagomis, veiklą. Dietos

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



laikymasis neleidžia susidaryti pernelyg dideliu aminorūgščių, kaip antai tirozino ir fenilalanino, kurios virsta tirozinu, kiekiu organizme.

Kokia Orfadin nauda nustatyta tyrimų metu?

Paveldima 1 tipo tirozinemija

Didžiausiame Orfadin tyrime dalyvavo 257 1 tipo tirozinemija sergantys pacientai. Buvo tiriamas Orfadin poveikis pacientų išgyvenamumui ir lyginamas su medicininių leidinių ataskaitose, kuriose aprašytas HT-1 sergančių pacientų išgyvenamumas taikant tik modifikuotą dietą, paskelbtu poveikiu. Orfadin ženkliai pailgino gyvenimo trukmę. Pavyzdžiui, jaunesnis negu dviejų mėnesių HT-1 sergantis kūdikis paprastai turi tik 28 proc. tikimybę išgyventi iki penkerių metų taikant vien modifikuotą dietą. Papildomai skiriant gydymą Orfadin, jo išgyvenamumo rodiklis padidėja iki 82 proc. Kuo greičiau pradedamas gydymas, tuo geresnės galimybės išgyventi.

Alkaptonurija

Orfadin veiksmingai mažina tirozino skilimo produktą, vadinamą homogentizine rūgštimi (HGA). Pagrindiniame tyrime, kuriame dalyvavo 138 alkaptonurija sergančių suaugusių pacientų, pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo HGA kiekis šlapime per parą, kuris atspindi HGA kiekį organizme. Vienus metus Orfadin vartojusių pacientų kraujyje HGA koncentracija šlapime per parą buvo 86 mikromolių/l, palyginti su daugiau kaip 26 000 mikromolių/l pacientų, kurie šio vaisto nevartojo. Be to, Orfadin vartojusiems pacientams pasireiškė mažiau ligos simptomų nei jo nevartojusiems.

Kokia rizika susijusi su Orfadin vartojimu?

Dažniausias Orfadin šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra didelis tirozino kiekis kraujyje (dėl vaisto veikimo būdo). Kiti dažni šalutinio poveikio reiškiniai (galintys pasireikšti ne daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra trombocitopenija (sumažėjęs trombocitų kiekis), leukopenija (sumažėjęs baltųjų kraujo ląstelių kiekis), granulocitopenija (mažas granulocitų – baltųjų kraujo ląstelių – kiekis), konjunktyvitas (akies paraudimas ir nemalonūs pojūčiai akyje), ragenos (skaidraus sluoksnio, kuris dengia vyzdį) drumstumas, keratitas (ragenos uždegimas), fotofobija (nenormalus akių jautrumas šviesai) ir akių skausmas. Daugelis šių šalutinių reiškinių pasireiškia dėl didelio tirozino kiekio.

Išsamų visų Orfadin šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Kodėl Orfadin buvo registruotas ES?

Orfadin buvo veiksmingas gydant 1 tipo paveldimą tirozinemiją, ypač gydymą pradėjus anksti, kol paciento kepenys nėra pernelyg pažeistos. Gydymo Orfadin rezultatai geresni nei nurodyti gydymo modifikuota dieta rezultatai. AKU sergantiems pacientams Orfadin veiksmingai sumažina HGA koncentraciją šlapime, o kartu ir simptomus, ypač sąnarių, kaulų ir akių. Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Orfadin šalutinio poveikio reiškiniai gerai žinomi, tačiau pažymėjo, kad šalutinis poveikis akims pasireiškia dažniau AKU sergantiems pacientams ir kad jiems pasireiškia naujų šalutinio poveikio reiškinių, pavyzdžiui, infekcijų. Apskritai laikomasi nuomonės, kad Orfadin sukliamą šalutinį poveikį galima kontroliuoti.

Agentūra nusprendė, kad Orfadin nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Orfadin vartojimą?

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį taip pat įtrauktos saugaus ir veiksmingo Orfadin vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės.

Kaip ir visų vaistų, Orfadin vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Orfadin šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Orfadin:

Orfadin buvo registruotas visoje ES 2005 m. vasario 21 d.

Daugiau informacijos apie Orfadin rasite Agentūros tinklalapyje adresu:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/orfadin.

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2020-11.