



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/658321/2017
EMA/H/C/004281

EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai

Nitisinone MDK¹

nitizinons

Šis ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (EPAR) kopsavilkums par *Nitisinone MDK*. Tajā ir paskaidrots, kā aģentūra ir vērtējusi šīs zāles, lai ieteiktu tās reģistrēt Eiropas Savienībā un sniegtu lietošanas nosacījumus. Tas nav paredzēts kā praktiski ieteikumi par *Nitisinone MDK* lietošanu.

Lai saņemtu praktisku informāciju par *Nitisinone MDK* lietošanu, pacientiem jāizlasa zāļu lietošanas instrukcija vai jāsazinās ar ārstu vai farmaceitu.

Kas ir *Nitisinone MDK* un kāpēc tās lieto?

Nitisinone MDK ir zāles, ko lieto iedzimtas 1. tipa tirozinēmijas (HT 1) ārstēšanai. Tā ir reta slimība, kad pacientu organisms nespēj pilnīgi sašķelt aminoskābi tirozīnu, un tas izraisa kaitīgu vielu veidošanos, radot smagus aknu darbības traucējumus un aknu vēzi.

Nitisinone MDK ir jālieto kopā ar diētu ar ierobežotu aminoskābju tirozīna un fenilalanīna saturu. Šīs aminoskābes parasti ir atrodamas ēdienos un dzērienos.

Nitisinone MDK ir "ģenēriskas zāles". Tas nozīmē, ka *Nitisinone MDK* sastāvā ir tā pati aktīvā viela un tās darbojas līdzīgi "atsauces zālēm", kas jau ir reģistrētas Eiropas Savienībā (ES) ar nosaukumu *Orfadin*. Sīkāku informāciju par ģenēriskām zālēm skatīt jautājumu un atbilžu dokumentā [šeit](#).

Nitisinone MDK satur aktīvo vielu nitizinonu.

Kā lieto *Nitisinone MDK*?

Nitisinone MDK var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana jāsāk un jāuzrauga HT-1 ārstēšanā pieredzējušam ārstam. Ārstēšana jāuzsāk pēc iespējas agrāk, bet *Nitisinone MDK* deva jāpielāgo atkarībā no pacienta reakcijas un ķermeņa svara.

¹ Iepriekš zināmas kā *Nitisinone MendeliKABS*



Nitisinone MDK ir pieejamas kapsulās (2 mg, 5 mg un 10 mg). Ieteicamā sākumdeva ir 1 mg uz kilogramu ķermeņa svara reizi dienā. Parasti kapsulas norij veselas, bet tās var atvērt un saturu iemaisīt nelielā ūdens vai piena maisījuma daudzumā tieši pirms lietošanas.

Nitisinone MDK ir paredzētas ilgstošai lietošanai. Pacienti jāizmeklē vismaz reizi sešos mēnešos.

Kā *Nitisinone MDK* darbojas?

Tirozīnu organismā sašķel vairāki fermenti. Ja HT1 pacientiem trūkst viena no šiem fermentiem, tad tirozīns netiek pienācīgi izvadīts no viņu organisma, bet pārvērsts kaitīgās vielās. *Nitisinone MDK* aktīvā viela nitizinons nomāc tā fermenta darbību, kas tirozīnu pārvērš kaitīgās vielās. Taču tā kā *Nitisinone MDK* terapijas laikā nepārvērsta tirozīns paliek organismā, pacientiem jāievēro īpaša diēta ar zemu tirozīna saturu. Turklāt diētā jābūt zemam fenilalanīna saturam, jo organismā tas tiek pārvērsts par tirozīnu.

Kā noritēja *Nitisinone MDK* izpēte?

Pētījumi par aktīvās vielas ieguvumiem un riskiem apstiprinātai lietošanai jau ir veikti attiecībā uz atsaucēs zālēm *Orfadin*, un tie nav jāatkārto ar *Nitisinone MDK*.

Tāpat kā katrām zālēm, uzņēmums nodrošināja pētījumus par *Nitisinone MDK* kvalitāti. Uzņēmums arī veica pētījumu, lai pierādītu, ka šīs zāles ir "bioekvivalentas" atsaucēs zālēm. Divas zāles ir bioekvivalentas, ja tās organismā nodrošina vienādu aktīvās vielas līmeni un tādēļ ir sagaidāms, ka tām būs vienāda iedarbība.

Kāda ir *Nitisinone MDK* ieguvumu un riska attiecība?

Tā kā *Nitisinone MDK* ir ģenēriskas zāles un bioekvivalentas atsaucēs zālēm, to ieguvumu un riska attiecību uzskata par līdzvērtīgu atsaucēs zāļu ieguvumu un riska attiecībai.

Kāpēc *Nitisinone MDK* tika apstiprinātas?

CHMP secināja, ka saskaņā ar ES prasībām ir pierādīta *Nitisinone MDK* kvalitātes līdzvērtība un bioekvivalence zālēm *Orfadin*. Tāpēc CHMP uzskatīja, ka, tāpat kā *Orfadin* gadījumā, ieguvums pārsniedz identificēto risku. Komiteja ieteica apstiprināt *Nitisinone MDK* lietošanai ES.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Nitisinone MDK* lietošanu?

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Nitisinone MDK* lietošanu.

Cita informācija par *Nitisinone MDK*

Eiropas Komisija 2017. gada 24. augustā izsniedza *Nitisinone MendeliKABS* reģistrācijas apliecību, kas derīga visā Eiropas Savienībā. Zāļu nosaukums tika nomainīts ar *Nitisinone MDK* 2017. gada 3. oktobris.

Pilns *Nitisinone MDK* teksts ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Lai saņemtu sīkāku informāciju par ārstēšanu ar *Nitisinone MDK*, izlasiet zāļu lietošanas instrukciju (kas arī ir EPAR daļa) vai sazinieties ar ārstu vai farmaceitu.

Pilns atsauces zāļu *EPAR* teksts arī pieejams aģentūras tīmekļa vietnē.

Šo kopsavilkumu pēdējo reizi atjaunināja 10.2017.

Zāles vairs nav reģistrētas