



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/658323/2017
EMA/H/C/004281

EPAR-samenvatting voor het publiek

Nitisinon MDK¹

nitisinon

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Nitisinon MDK. Het geeft uitleg over de wijze waarop het Geneesmiddelenbureau het geneesmiddel met het oog op vergunningverlening in de EU en vaststelling van de gebruiksvoorwaarden heeft beoordeeld. Het is niet bedoeld als praktisch advies voor het gebruik van Nitisinon MDK.

Lees de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor praktische informatie over het gebruik van Nitisinon MDK.

Wat is Nitisinon MDK en wanneer wordt het voorgeschreven?

Nitisinon MDK is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van erfelijke tyrosinemie type 1 (HT-1). Dit is een zeldzame ziekte waarbij het lichaam niet in staat is het aminozuur tyrosine volledig af te breken, zodat giftige stoffen gevormd worden die ernstige leverproblemen en leverkanker veroorzaken.

Nitisinon MDK wordt gebruikt in combinatie met een dieet dat arm is aan de aminozuren tyrosine en fenylalanine. Deze aminozuren komen gewoonlijk voor in eiwitten in voedsel en dranken.

Nitisinon MDK is een 'generiek geneesmiddel'. Dit betekent dat Nitisinon MDK dezelfde werkzame stof bevat als en op dezelfde manier werkt als een 'referentiegeneesmiddel' dat al in de Europese Unie (EU) is toegelaten onder de naam Orfadin. Meer informatie over generieke geneesmiddelen vindt u in het [vraag-en-antwoorddocument](#).

Nitisinon MDK bevat de werkzame stof nitisinon.

¹ Voorheen bekend onder de naam Nitisinon MendeliKABS



Hoe wordt Nitisinon MDK gebruikt?

Nitisinon MDK is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling mag alleen worden gestart en gecontroleerd door artsen met ervaring in de behandeling van HT-1. Met de behandeling moet zo vroeg mogelijk worden begonnen en de dosering van Nitisinon MDK moet worden aangepast aan de respons en het lichaamsgewicht van de patiënt.

Nitisinon MDK is verkrijgbaar in de vorm van capsules (2 mg, 5 mg en 10 mg). De aanbevolen startdosis is 1 mg per kilogram lichaamsgewicht per dag. De capsule wordt gewoonlijk in zijn geheel doorgeslikt, maar mag onmiddellijk vóór inname worden geopend en de inhoud opgelost in een kleine hoeveelheid water of flesvoeding.

Nitisinon MDK is bedoeld voor langdurig gebruik. De patiënten moeten minstens om de zes maanden worden gecontroleerd.

Hoe werkt Nitisinon MDK?

Tyrosine wordt in het lichaam afgebroken door een aantal enzymen. Patiënten met HT-1 missen een van deze enzymen en daardoor wordt tyrosine in hun lichaam niet op de juiste wijze geëlimineerd, maar omgezet in schadelijke stoffen. Nitisinon, de werkzame stof in Nitisinon MDK, blokkeert een enzym dat tyrosine omzet in schadelijke stoffen. Aangezien er echter tyrosine in het lichaam achterblijft tijdens de behandeling met Nitisinon MDK, moeten patiënten een speciaal dieet volgen dat arm is aan tyrosine. Dit dieet moet eveneens arm zijn aan fenylalanine, aangezien dit in het lichaam wordt omgezet in tyrosine.

Hoe is Nitisinon MDK onderzocht?

De voordelen en risico's van de werkzame stof in de goedgekeurde toepassingen zijn reeds onderzocht in studies met het referentiegeneesmiddel Orfadin en hoeven dus niet nogmaals te worden onderzocht voor Nitisinon MDK.

Zoals voor elk geneesmiddel heeft het bedrijf studies naar de kwaliteit van Nitisinon MDK overgelegd. Het bedrijf heeft tevens een studie verricht die heeft aangetoond dat het middel bio-equivalent (biologisch gelijkwaardig) is aan het referentiegeneesmiddel. Twee geneesmiddelen zijn bio-equivalent wanneer ze dezelfde concentraties van de werkzame stof in het lichaam produceren en daarom naar verwachting hetzelfde effect zullen hebben.

Welke voordelen en risico's heeft Nitisinon MDK?

Aangezien Nitisinon MDK een generiek geneesmiddel is en biologisch gelijkwaardig aan het referentiegeneesmiddel, worden de voordelen en risico's van het middel geacht dezelfde te zijn als die van het referentiegeneesmiddel.

Waarom is Nitisinon MDK goedgekeurd?

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat overeenkomstig de EU-eisen is aangetoond dat Nitisinon MDK van vergelijkbare kwaliteit is als en biologisch gelijkwaardig aan Orfadin. Daarom was het Geneesmiddelenbureau van mening dat, net zoals voor Orfadin, het voordeel groter is dan het vastgestelde risico. Het Geneesmiddelenbureau heeft geadviseerd Nitisinon MDK voor gebruik in de EU goed te keuren.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Nitisinon MDK te waarborgen?

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Nitisinon MDK, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Overige informatie over Nitisinon MDK

De Europese Commissie heeft op 24 augustus 2017 een in de hele Europese Unie geldige vergunning voor het in de handel brengen van Nitisinon MendeliKABS verleend. De naam van het geneesmiddel werd op 3 oktober 2017 gewijzigd in Nitisinon MDK.

Het volledige EPAR voor Nitisinon MDK is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lees de bijsluiter (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over de behandeling met Nitisinon MDK.

Het volledige EPAR voor het referentiegeneesmiddel staat eveneens op de website van het Geneesmiddelenbureau.

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 10-2017.