

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

Nityr (*nityzynon*)

Przegląd wiedzy na temat leku Nityr i uzasadnienie udzielenia Pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Co to jest produkt Nityr i w jakim celu się go stosuje?

Nityr jest lekiem stosowanym w leczeniu dziedzicznej tyrozyinemii typu 1 (HT-1). Jest to rzadka choroba, w przebiegu której organizm nie jest w stanie całkowicie rozkładać aminokwasu tyrozyny, i w efekcie tworzą się szkodliwe substancje powodujące poważne problemy dotyczące wątroby oraz raka wątroby.

Produkt Nityr stosuje się równocześnie z dietą ograniczającą spożywanie aminokwasów tyrozyny i fenyloalaniny. Te aminokwasy występują zazwyczaj w białku pokarmów i napojów.

Nityr zawiera substancję czynną nityzynon i jest lekiem generycznym. Oznacza to, że produkt Nityr zawiera tę samą substancję czynną oraz działa w ten sam sposób co „lek referencyjny” o nazwie Orfadin, który jest już dopuszczony do obrotu w UE. Więcej informacji na temat leków generycznych znajduje się w dokumencie z pytaniami i odpowiedziami [tutaj](#).

Jak stosować lek Nityr?

Lek Nityr jest wydawany wyłącznie na receptę, a leczenie powinien rozpoczynać i monitorować lekarz z doświadczeniem w leczeniu pacjentów z HT-1. Leczenie produktem Nityr należy rozpocząć możliwie najwcześniej, a dawkę leku dostosować do reakcji organizmu pacjenta i jego masy ciała.

Lek Nityr jest dostępny w postaci tabletek 10 mg do podawania doustnego. Zalecana dawka początkowa wynosi 1 mg na kilogram masy ciała na dobę.

Produkt Nityr jest przeznaczony do długotrwałego stosowania. Pacjenci powinni być monitorowani przynajmniej co sześć miesięcy.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Nityr znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Nityr?

Tyrozyna jest rozkładana w organizmie przez kilka enzymów. Pacjenci z HT-1 nie posiadają jednego z tych enzymów, więc ich organizmy nie usuwają we właściwy sposób tyrozyny, lecz przekształcają ją w szkodliwe substancje. Substancja czynna produktu Nityr, nityzynon, blokuje enzym, który przekształca tyrozynę w szkodliwe substancje. Jednak ze względu na to, że tyrozyna w niezmienionej postaci odkłada się w organizmie podczas leczenia produktem Nityr, pacjenci powinni stosować specjalną dietę z obniżoną ilością tyrozyny. Dieta powinna zawierać również ograniczoną ilość fenyloalaniny, gdyż przekształca się ona w organizmie w tyrozynę.

Jak badano produkt Nityr?

Badania dotyczące korzyści i ryzyka stosowania substancji czynnej w zatwierdzonym wskazaniu przeprowadzono już z lekiem referencyjnym Orfadin i nie ma potrzeby ich powtarzać dla leku Nityr.

Jak w przypadku każdego leku firma przekazała wyniki badań jakości produktu Nityr. Firma przeprowadziła również badanie, w którym wykazano, że lek jest biorównoważny w stosunku do leku referencyjnego. Dwa leki są wtedy biorównoważne, kiedy osiągają takie same stężenia substancji czynnej w organizmie i dlatego spodziewane jest takie samo działanie leków.

Jakie korzyści i ryzyko wiążą się ze stosowaniem produktu Nityr?

Ponieważ produkt Nityr jest lekiem generycznym, biorównoważnym w stosunku do leku referencyjnego, uznaje się, że z jego stosowaniem wiążą się takie same korzyści i ryzyko, jak w przypadku leku referencyjnego.

Na jakiej podstawie lek Nityr jest dopuszczony do obrotu w UE?

Europejska Agencja Leków uznała, że – zgodnie z wymogami UE – wykazano, że lek Nityr charakteryzuje się porównywalną jakością i jest biorównoważny do leku Orfadin. Dlatego też Agencja wyraziła opinię, że – podobnie jak w przypadku leku Orfadin – korzyści ze stosowania leku Nityr przewyższają rozpoznane ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Nityr?

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Nityr w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane na temat stosowania leku Nityr są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Nityr są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące produktu Nityr

Dalsze informacje na temat leku Nityr znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Informacje dotyczące leku referencyjnego również znajdują się na stronie internetowej Agencji.