

EMA/658325/2017
EMA/H/C/004281

Resumo do EPAR destinado ao público

Nitisinone MDK¹

nitisinona

Este é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Nitisinone MDK. O seu objetivo é explicar o modo como a Agência avaliou o medicamento a fim de recomendar a sua autorização na UE, bem como as suas condições de utilização. Não tem por finalidade fornecer conselhos práticos sobre a utilização do Nitisinone MDK.

Para obter informações práticas sobre a utilização do Nitisinone MDK, os doentes devem ler o Folheto Informativo ou contactar o seu médico ou farmacêutico.

O que é o Nitisinone MDK e para que é utilizado?

O Nitisinone MDK é um medicamento utilizado no tratamento da tirosinemia hereditária do tipo 1 (HT-1), uma doença rara em que o organismo não é capaz de decompor completamente a tirosina, um aminoácido que provoca a formação de substâncias nocivas que causam problemas hepáticos (no fígado) graves e cancro do fígado.

O Nitisinone MDK é utilizado em associação com uma dieta que restringe a ingestão dos aminoácidos tirosina e fenilalanina. Estes aminoácidos existem normalmente nas proteínas dos alimentos e bebidas.

O Nitisinone MDK é um medicamento genérico, o que significa que contém a mesma substância ativa e funciona da mesma forma que um medicamento de referência já autorizado na União Europeia (UE) denominado Orfadin. Para mais informações sobre medicamentos genéricos, ver o documento de perguntas e respostas [aqui](#).

O Nitisinone MDK contém a substância ativa nitisinona.

¹ Anteriormente conhecido como Nitisinone MendeliKABS

Como se utiliza o Nitisinone MDK?

O Nitisinone MDK só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento só deve ser iniciado e supervisionado por médicos com experiência no tratamento da HT-1. O tratamento deve ser iniciado o mais rapidamente possível e a dose ajustada de acordo com a resposta do doente e o seu peso corporal.

O Nitisinone MDK encontra-se disponível na forma de cápsulas (2 mg, 5 mg e 10 mg). A dose inicial recomendada é de 1 mg por quilograma de peso corporal, uma vez ao dia. As cápsulas são normalmente engolidas inteiras, mas podem ser abertas e o seu conteúdo misturado numa pequena quantidade de água ou fórmula dietética, imediatamente antes da toma.

O Nitisinone MDK destina-se a tratamento de longo prazo. Os doentes devem ser monitorizados pelo menos cada seis meses.

Como funciona o Nitisinone MDK?

A tirosina é degradada no organismo por várias enzimas. Os doentes com HT1 não têm uma dessas enzimas pelo que, em vez de eliminarem adequadamente a tirosina, a transformam em substâncias nocivas. A nitisinona, substância ativa do Nitisinone MDK, bloqueia uma enzima que converte a tirosina em substâncias nocivas. No entanto, uma vez que a tirosina permanece no organismo durante o tratamento com o Nitisinone MDK, os doentes devem seguir uma dieta especial com baixo teor de tirosina. A dieta deverá ser igualmente baixa em fenilalanina, uma vez que esta se converte em tirosina no organismo.

Como foi estudado o Nitisinone MDK?

Já foram realizados estudos sobre os benefícios e os riscos da substância ativa nas utilizações aprovadas relativamente ao medicamento de referência, o Orfadin, pelo que não há necessidade de os repetir relativamente ao Nitisinone MDK.

Tal como qualquer outro medicamento, a empresa forneceu estudos sobre a qualidade do Nitisinone MDK. Além disso, a empresa realizou um estudo que demonstrou que o medicamento é bioequivalente ao medicamento de referência. Dois medicamentos são bioequivalentes quando produzem os mesmos níveis da substância ativa no organismo e, portanto, se prevê que tenham os mesmos efeitos.

Quais são os benefícios e riscos do Nitisinone MDK?

Uma vez que o Nitisinone MDK é um medicamento genérico bioequivalente ao medicamento de referência, os seus benefícios e riscos são considerados idênticos aos do medicamento de referência.

Por que foi aprovado o Nitisinone MDK?

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que, em conformidade com o exigido pela legislação da UE, o Nitisinone MDK demonstrou ter uma qualidade comparável e ser bioequivalente ao Orfadin. Por conseguinte, o CHMP considerou que, à semelhança do Orfadin, os seus benefícios são superiores aos riscos identificados. O Comité recomendou a aprovação do Nitisinone MDK para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz do Nitisinone MDK?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz do Nitisinone MDK.

Outras informações sobre o Nitisinone MDK

Em 24 de agosto de 2017, a Comissão Europeia concedeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a União Europeia, para o Nitisinone MendeliKABS. O nome do medicamento foi alterado para Nitisinone MDK em 3 de outubro de 2017.

O EPAR completo relativo ao Nitisinone MDK pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Para mais informações sobre o tratamento com o Nitisinone MDK, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

O EPAR completo sobre o medicamento de referência pode ser igualmente consultado no sítio Internet da Agência.

Este resumo foi atualizado pela última vez em 10-2017.