

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

## Nityr (*nitisinona*)

Um resumo sobre Nityr e porque está autorizado na UE

### O que é Nityr e para que é utilizado?

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

Nityr é utilizado em associação com uma dieta que restringe a ingestão dos aminoácidos tirosina e fenilalanina. Estes aminoácidos encontram-se normalmente nas proteínas dos alimentos e bebidas.

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

### Como se utiliza Nityr?

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

Nityr está disponível na forma de comprimidos de 10 mg para tomar por via oral (pela boca). A dose inicial recomendada é de 1 mg por quilograma de peso corporal, uma vez por dia.

Nityr destina-se a tratamento de longa duração. Os doentes devem ser monitorizados pelo menos cada seis meses.

Para mais informações sobre a utilização de Nityr, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.



## **Como funciona Nityr?**

A tirosina é decomposta no organismo por várias enzimas. Os doentes com HT-1 não têm uma dessas enzimas pelo que, em vez de eliminarem adequadamente a tirosina, a convertem em substâncias nocivas. A substância ativa de Nityr, a nitisinona, bloqueia uma enzima que converte a tirosina em substâncias nocivas. No entanto, uma vez que a tirosina não convertida permanece no organismo durante o tratamento com Nityr, os doentes devem seguir uma dieta especial com um teor baixo em tirosina. A dieta deverá ser igualmente baixa em fenilalanina, uma vez que esta se converte em tirosina no organismo.

## **Como foi estudado Nityr?**

Os estudos sobre os benefícios e os riscos da substância ativa na utilização aprovada foram já realizados com o medicamento de referência, Orfadin, e não necessitam ser repetidos para Nityr.

Tal como para todos os medicamentos, a empresa apresentou estudos sobre a qualidade de Nityr. A empresa também realizou um estudo que demonstrou que é bioequivalente ao medicamento de referência. Dois medicamentos são bioequivalentes quando produzem os mesmos níveis de substância ativa no organismo e por isso é esperado que tenham o mesmo efeito.

## **Quais os benefícios e riscos de Nityr?**

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

## **Porque está Nityr autorizado na UE?**

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que, em conformidade com os requisitos da UE, Nityr demonstrou ter uma qualidade comparável e ser bioequivalente ao Orfadin. Por conseguinte, a Agência considerou que, à semelhança do Orfadin, o benefício de Nityr é superior ao risco identificado e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

## **Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Nityr?**

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 de Nityr.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Nityr são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Nityr são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

## **Outras informações sobre Nityr**

Mais informações sobre Nityr podem ser encontradas no sítio da internet da Agência: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports).

Informação sobre o medicamento de referência pode também ser encontrada no sítio da internet da Agência.