

EMA/658327/2017
EMA/H/C/004281

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Nitisinone MDK¹

nitizinón

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Nitisinone MDK. Vysvetľuje, akým spôsobom agentúra vyhodnotila liek s cieľom odporučiť jeho povolenie na uvedenie na trh v EÚ a podmienky jeho používania. Účelom tohto dokumentu nie je poskytnúť praktické rady o tom, ako používať liek Nitisinone MDK.

Ak pacienti potrebujú praktické informácie o používaní lieku Nitisinone MDK, nájdu ich v písomnej informácii pre používateľa alebo sa môžu obrátiť na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnika.

Čo je liek Nitisinone MDK a na čo sa používa?

Liek Nitisinone MDK sa používa na liečbu dedičnej tyrozinémie typu 1 (HT-1). Ide o zriedkavú chorobu, pri ktorej telo nie je schopné úplne rozložiť aminokyselinu tyrozín, pričom vznikajú škodlivé látky, čo spôsobuje vážne problémy s pečeňou a rakovinu pečene.

Liek Nitisinone MDK sa používa spolu s diétou, ktorá obmedzuje príjem tyrozínu a fenylalanínu. Tieto aminokyseliny sa normálne nachádzajú v proteínoch v strave a nápojoch.

Liek Nitisinone MDK je tzv. generický liek. To znamená, že liek Nitisinone MDK obsahuje rovnakú účinnú látku a pôsobí rovnakým spôsobom ako tzv. referenčný liek, ktorý je už v Európskej únii (EÚ) povolený pod názvom Orfadin. Viac informácií o generických liekoch sa nachádza v dokumente s otázkami a odpoveďami [tu](#).

Liek Nitisinone MDK obsahuje účinnú látku nitizinón.

¹ Predtým známa ako Nitisinone MendeliKABS



Ako sa liek Nitisinone MDK používa?

Výdaj lieku Nitisinone MDK je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať a sledovať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou pacientov s HT-1. Liečba sa má začať čo najskôr a dávka lieku Nitisinone MDK sa má upraviť podľa odpovede pacienta a jeho telesnej hmotnosti.

Liek Nitisinone MDK je dostupný vo forme kapsúl (2 mg, 5 mg a 10 mg). Odporúčaná úvodná dávka je 1 mg na kilogram telesnej hmotnosti denne. Kapsuly sa zvyčajne prehltávajú v celku, môžu sa však otvoriť a ich obsah sa môže pred prehĺtnutím zmiešať s malým množstvom vody alebo dojčenskej výživy.

Liek Nitisinone MDK je určený na dlhodobé používanie. Pacienti majú byť kontrolovaní najmenej každých šesť mesiacov.

Akým spôsobom liek Nitisinone MDK účinkuje?

Tyrozín v tele štiepi niekoľko enzýmov. Pacientom s HT-1 jeden z týchto enzýmov chýba, a preto sa tyrozín poriadne neodstráni, ale sa mení na škodlivé látky. Účinná látka lieku Nitisinone MDK, nitizinón, blokuje enzým, ktorý mení tyrozín na škodlivé látky. Vzhľadom na to, že počas liečby liekom Nitisinone MDK nezmenený tyrozín zostáva v tele, musia dodržiavať osobitnú diétu s nízkym obsahom tyrozínu. Diéta sa musí vyznačovať aj nízkym obsahom fenylalanínu, pretože táto látka sa v tele mení na tyrozín.

Ako bol liek Nitisinone MDK skúmaný?

Štúdie, v ktorých sa skúmali prínosy a riziká účinnej látky pri schválených použitíach, sa už uskutočnili s referenčným liekom Orfadin a nemusia sa preto opakovať pre liek Nitisinone MDK.

Ako pre každý liek aj pre Nitisinone MDK spoločnosť predložila štúdie o kvalite. Spoločnosť tiež uskutočnila štúdiu, v ktorej sa preukázala jeho biologická rovnocennosť s referenčným liekom. Dva lieky sú biologicky rovnocenné, ak v tele produkujú rovnaké hladiny účinnej látky, a preto sa očakáva, že budú mať rovnaký účinok.

Aké prínosy a riziká sa spájajú s liekom Nitisinone MDK?

Keďže liek Nitisinone MDK je generický liek a je biologicky rovnocenný s referenčným liekom, jeho prínosy a riziká sa považujú za rovnaké ako v prípade referenčného lieku.

Prečo bol liek Nitisinone MDK povolený?

Európska agentúra pre lieky dospela k záveru, že v súlade s požiadavkami EÚ bola preukázaná porovnateľná kvalita a biologická rovnocennosť lieku Nitisinone MDK s liekom Orfadin. Výbor CHMP preto usúdil, že tak, ako v prípade lieku Orfadin, jeho prínos je väčší než identifikované riziká. Agentúra odporučila udeliť povolenie lieku Nitisinone MDK na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Nitisinone MDK?

Na bezpečné a účinné používanie lieku Nitisinone MDK boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Ďalšie informácie o lieku Nitisinone MDK

Dňa 24. augusta 2017 Európska komisia vydala povolenie na uvedenie lieku Nitisinone MendeliKABS na trh platné v celej Európskej únii. Dňa 3. október 2017 bol názov lieku zmenený na Nitisinone MDK.

Úplné znenie správy EPAR o lieku Nitisinone MDK sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Nitisinone MDK, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľa (súčasť správy EPAR) alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnika.

Úplné znenie správy EPAR o referenčnom lieku sa takisto nachádza na webovej stránke agentúry.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 10-2017.

Liek s ukončenou platnosťou registrácie