



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/602143/2020
EMA/H/C/000555

Orfadin (*nitizinón*)

Prehľad o lieku Orfadin a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Orfadin a na čo sa používa?

Liek Orfadin sa používa na liečbu:

- hereditárnej tyrozinémie typu 1 (HT-1) u pacientov v každom veku, ktorí dodržiavajú aj diétne obmedzenia,
- alkaptonúrie (AKU) u dospelých.

K týmto ochoreniam dochádza vtedy, ak telo nie je schopné úplne odbúravať niektoré aminokyseliny vrátane tyrozínu. V dôsledku toho sa hromadia škodlivé látky, ktoré môžu spôsobiť závažné problémy s pečeňou a rakovinu pečene u pacientov s hereditárnou tyrozinémiou typu 1 a ťažkosti s kĺbmi u pacientov s alkaptonúriou.

Liek Orfadin obsahuje liečivo nitizinón.

Ako sa liek Orfadin užíva?

Výdaj lieku Orfadin je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať a sledovať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou ochorení, na ktoré sa liek Orfadin používa. Je dostupný vo forme kapsúl a perorálnej suspenzie na užívanie cez ústa.

Odporúčaná začiatková denná dávka lieku Orfadin u pacientov s HT-1 je 1 mg na kilogram telesnej hmotnosti. Dávka sa potom upraví podľa odpovede a hmotnosti pacienta.

Odporúčaná začiatková denná dávka lieku u dospelých s AKU je 10 mg.

Viac informácií o užívaní lieku Orfadin si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára či lekárnika.

Akým spôsobom liek Orfadin účinkuje?

Pacienti s hereditárnou tyrozinémiou typu 1 a alkaptonúriou majú nedostatok enzýmov na správne odbúravanie aminokyseliny tyrozín, ktorá sa následne premieňa na škodlivé látky. Liečivo lieku Orfadin, nitizinón, blokuje enzým, ktorý mení tyrozín na škodlivé látky. Diétne obmedzenia zabraňujú vytvoreniu nadmerných hladín aminokyselín, ako sú tyrozín a fenylalanín, ktorý sa v tele premieňa na tyrozín.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Aké prínosy lieku Orfadin boli preukázané v štúdiách?

Hereditárna tyrozinémia typu 1

Na najrozsiahlejšej štúdii lieku Orfadin sa zúčastnilo 257 pacientov s HT-1. V tejto štúdii sa skúmali účinky lieku Orfadin na dĺžku prežitia pacientov a porovnávali sa so správami uverejnenými v lekárskych časopisoch, ktoré opisovali mieru prežitia pacientov s HT-1 dodržiavajúcich iba upravenú diétu. Liek Orfadin výrazne predĺžil dĺžku života. Napríklad dieťa s HT1 vo veku do dvoch mesiacov by bežne malo iba 28 % šancu, že sa dožije 5 rokov, ak bude dodržiavať iba upravenú diétu. Po doplnení liečby liekom Orfadin sa miera prežitia zvýšila na 82 %. Čím skôr sa liečba začne, tým väčšie sú šance na prežitie.

Alkaptonúria

Liek Orfadin bol účinný pri znižovaní množstva škodlivého produktu odbúravania tyrozínu, ktorý sa nazýva kyselina homogentisová (HGA). V jednej hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 138 dospelých s AKU, hlavným meradlom účinnosti bolo množstvo kyseliny homogentisovej v moči v priebehu 24 hodín, čo je ukazovateľom množstva tejto kyseliny v tele. U pacientov užívajúcich liek Orfadin počas jedného roku hladina kyseliny homogentisovej v moči v priebehu 24 hodín dosahovala hodnotu 86 mikromol/liter v porovnaní s 26 000 mikromol/liter u pacientov, ktorí liek neužívali. Pacienti užívajúci liek Orfadin navyše vykazovali menej príznakov ochorenia v porovnaní s pacientmi, ktorí liek neužívali.

Aké riziká sa spájajú s užívaním lieku Orfadin?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Orfadin (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú vysoké hladiny tyrozínu v krvi (z dôvodu spôsobu, akým liek účinkuje). Ďalšími častými vedľajšími účinkami (ktoré môžu postihnúť až 1 osobu z 10) sú trombocytopenia (nízky počet krvných doštičiek), leukopénia (nízky počet bielych krviniek), granulocytopenia (nízke hladiny granulocytov, typu bielych krviniek), konjunktivitída (začervenanie a nepríjemný pocit v oku), korneálna opacita (zákal rohovky, priehľadnej prednej časti zrenice), keratitída (zápal rohovky), fotofóbia (zvýšená citlivosť očí na svetlo) a bolesť očí. Mnohé z týchto vedľajších účinkov môžu byť výsledkom vysokých hladín tyrozínu u pacientov.

Zoznam všetkých vedľajších účinkov a obmedzení pozorovaných pri používaní lieku Orfadin sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Orfadin povolený v EÚ?

Liek Orfadin bol účinný pri liečbe HT-1 najmä vtedy, ak sa liečba začala včas, ešte pred prílišným poškodením pečene pacienta. Liek Orfadin viedol u pacientov k lepším výsledkom ako boli výsledky zaznamenané u pacientov, ktorí dodržiavali iba upravenú diétu. U pacientov s AKU bol liek Orfadin účinný pri znižovaní hladiny HGA v moči, čo bolo sprevádzané znížením výskytu príznakov, najmä tých, ktoré postihujú kĺby, kosti a oči. Európska agentúra pre lieky usúdila, že výskyt vedľajších účinkov lieku Orfadin je dobre stanovený, avšak poznamenal, že vedľajšie účinky postihujúce oči sa vyskytovali častejšie u pacientov s AKU a u týchto pacientov sa objavili aj nové vedľajšie účinky, ako sú infekcie. Vedľajšie účinky lieku Orfadin sa celkovo považujú za zvládnutelné.

Agentúra preto rozhodla, že prínosy lieku Orfadin sú väčšie ako riziká spojené s jeho užívaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Orfadin?

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

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o užívaní lieku Orfadin sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Orfadin sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Orfadin

Lieku Orfadin bolo dňa 21. februára 2005 udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ.

Ďalšie informácie o lieku Orfadin sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/orfadin.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 11-2020