



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Orfadin (*nitisinon*)

Sammanfattning av Orfadin och varför det är godkänt inom EU

Vad är Orfadin och vad används det för?

Orfadin är ett läkemedel för behandling av

- hereditär tyrosinemi typ 1 (HT-1) hos patienter i alla åldrar som också följer kostrestriktioner,
- alkaptonuri (AKU) hos vuxna.

Dessa sjukdomar uppstår när kroppen inte helt kan bryta ner vissa aminosyror, däribland tyrosin. Som en följd av detta ansamlas skadliga ämnen, vilket kan orsaka allvarliga leverproblem och levercancer hos patienter med HT-1 och ledproblem hos patienter med AKU.

Orfadin innehåller den aktiva substansen nitisinon.

Hur används Orfadin?

Orfadin är receptbelagt och behandling ska inledas och övervakas av en läkare med erfarenhet av att behandla den sjukdom som Orfadin ges mot. Läkemedlet finns som kapslar och som en oral suspension som ska tas genom munnen.

För patienter med HT-1 är den rekommenderade startdosen för Orfadin 1 mg per kg kroppsvikt dagligen. Dosen justeras efter patientens svar och vikt.

För vuxna med AKU är den rekommenderade dosen 10 mg dagligen.

För mer information om hur du använder Orfadin, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Orfadin?

Patienter med HT-1 och AKU saknar enzymer för att bryta ner aminosyran tyrosin ordentligt och den omvandlas därför till skadliga ämnen. Den aktiva substansen i Orfadin, nitisinon, blockerar de enzymer som omvandlar tyrosin till skadliga ämnen. Kostrestriktioner förhindrar höga nivåer av aminosyror som tyrosin och av fenylalanin, som omvandlas till tyrosin i kroppen.



Vilka fördelar med Orfadin har visats i studierna?

Hereditär tyrosinemi typ 1

Den största studien av Orfadin omfattade 257 patienter med HT-1. I studien tittade man på Orfadins effekt på överlevnadstiden och jämförde denna med rapporter i medicinska tidskrifter om överlevnaden hos patienter med HT-1 där behandlingen endast utgjordes av förändrad kost. Orfadin förlänger den förväntade livslängden avsevärt. Ett spädbarn under två månaders ålder med HT-1 skulle till exempel normalt bara ha 28 procents chans att överleva i fem år om behandlingen endast utgjordes av förändrad kost. Vid tilläggsbehandling med Orfadin ökar överlevnadsfrekvensen till 82 procent. Ju snabbare behandlingen inleds, desto större är överlevnadschanserna.

Alkaptonuri

Orfadin var effektivt för att minska den skadliga nedbrytningsprodukten av tyrosin som kallas homogentisinsyra (HGA). I en huvudstudie på 138 vuxna med AKU var huvudeffektmåttet mängden HGA som påvisades i urinen under 24 timmar, vilket speglar mängden av HGA i kroppen. Hos patienter som fick Orfadin under ett år var nivån av HGA i urinen under 24 timmar 86 mikromol/liter, jämfört med över 26 000 mikromol/liter hos patienter som inte fick läkemedlet. Vidare hade patienter som fick Orfadin färre symtom på sjukdomen än de som inte fick läkemedlet.

Vilka är riskerna med Orfadin?

Den vanligaste biverkningen som orsakas av Orfadin (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är höga nivåer av tyrosin i blodet (på grund av hur läkemedlet fungerar). Andra biverkningar (kan förekomma hos upp till 1 av 10 personer) är trombocytopeni (låga antal blodplättar), leukopeni (låga antal vita blodkroppar), granulocytopeni (låga nivåer av granulocyter, en typ av vita blodkroppar), konjunktivit (rodnad och obehag i ögat), grumling av hornhinnan (ögats yttersta genomskinliga hinna), keratit (inflammation i hornhinnan), fotofobi (onormal ljuskänslighet i ögonen) och ögonsmärta. Många av dessa biverkningar beror på höga halter av tyrosin.

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Orfadin finns i bipacksedeln.

Varför är Orfadin godkänt i EU?

Orfadin var effektivt för behandling av HT-1, särskilt om den påbörjades innan patientens lever blivit alltför skadad. Orfadin visar bättre resultat hos patienterna än vad som rapporterats om patienter som behandlats med enbart en förändrad kost. Hos patienter med AKU var Orfadin effektivt för att minska nivåerna av HGA i urinen och detta åtföljdes av en minskning av symtomen, särskilt dem som drabbar lederna, skelettet och ögonen. Europeiska läkemedelsmyndigheten ansåg att Orfadins biverkningsmönster är väl fastställt, men noterade att biverkningarna på ögat oftare uppträdde hos patienter med AKU och att de också fick nya biverkningar såsom infektioner. Generellt anses Orfadins biverkningar vara hanterbara.

EMA fann därför att fördelarna med Orfadin är större än riskerna och att Orfadin kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Orfadin?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Orfadin har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för läkemedlet kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Orfadin utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Orfadin

Den 21 februari 2005 beviljades Orfadin ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Orfadin finns på EMA:s webbplats:

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

Denna sammanfattning uppdaterades senast 11-2020.