



EMA/658313/2017
EMA/H/C/004281

Resumen del EPAR para el público

Nitisinona MDK¹

nitisinona

El presente documento resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) para Nitisinona MDK. En él se explica cómo la Agencia ha evaluado el medicamento y ha emitido un dictamen favorable a su autorización de comercialización en la UE y sus condiciones de uso. No está destinado a proporcionar consejos prácticos sobre cómo utilizar Nitisinona MDK.

Para obtener información práctica sobre cómo utilizar Nitisinona MDK, el paciente debe leer el prospecto o consultar a su médico o farmacéutico.

¿Qué es Nitisinona MDK y para qué se utiliza?

Nitisinona MDK es un medicamento utilizado para tratar la tirosinemia hereditaria de tipo 1 (HT-1). Se trata de una enfermedad rara en la que el organismo no es capaz de descomponer el aminoácido tirosina, con lo que se forman sustancias nocivas que provocan problemas hepáticos y cáncer de hígado.

Nitisinona MDK se administra con una dieta que restringe el aporte de los aminoácidos tirosina y fenilalanina, que se encuentran normalmente en las proteínas de alimentos y bebidas.

Nitisinona MDK es un «medicamento genérico», es decir, contiene el mismo principio activo y actúa de la misma forma que un «medicamento de referencia» ya autorizado en la Unión Europea (UE) llamado Orfadin. Para obtener más información sobre los medicamentos genéricos, consultar [aquí](#) el documento de preguntas y respuestas.

Nitisinona MDK contiene el principio activo nitisinona.

¹ Anteriormente conocido como Nitisinona MendeliKABS



¿Cómo se usa Nitisinona MDK?

Nitisinona MDK solo se podrá dispensar con receta médica y solo deberán iniciar y supervisar el tratamiento médicos con experiencia en el tratamiento de pacientes con HT-1. El tratamiento deberá iniciarse lo antes posible y la dosis de Nitisinona MDK se ajustará a la respuesta y el peso corporal del paciente.

Nitisinona MDK se presenta en cápsulas (2 mg, 5 mg y 10 mg). La dosis inicial recomendada es de 1 mg por kilogramo de peso corporal al día. Las capsulas se tragan generalmente enteras, pero se pueden abrir y mezclar su contenido en una pequeña cantidad de agua o de suplemento dietético antes de tragarlo.

Nitisinona MDK es un tratamiento de larga duración. Los pacientes deberán ser controlados al menos cada seis meses.

¿Cómo actúa Nitisinona MDK?

La tirosina se descompone en el organismo mediante la acción de varias enzimas. Los pacientes con HT-1 carecen de alguna de estas enzimas, por lo que la tirosina en su organismo no se elimina adecuadamente sino que se transforma en sustancias nocivas. El principio activo de Nitisinona MDK, la nitisinona, bloquea una enzima que convierte la tirosina en sustancias nocivas. Sin embargo, como la tirosina no convertida permanece en el organismo durante el tratamiento con Nitisinona MDK, los pacientes necesitan someterse a una dieta especial baja en tirosina. La dieta también necesita ser baja en fenilalanina, ya que esta se convierte en tirosina en el organismo.

¿Qué tipo de estudios se han realizado con Nitisinona MDK?

Se han realizado estudios sobre los beneficios y los riesgos del principio activo en los usos aprobados con el medicamento de referencia, Orfadin, y no es necesario repetirlos con Nitisinona MDK.

La compañía presentó estudios sobre la calidad de Nitisinona MDK, como se hace con todos los medicamentos. Además, la compañía llevó a cabo un estudio que demostró que es «bioequivalente» al medicamento de referencia. Dos medicamentos son bioequivalentes cuando producen la misma concentración del principio activo en el organismo y, en consecuencia, se espera que tengan el mismo efecto.

¿Qué beneficios ha demostrado tener y cuál es el riesgo asociado a Nitisinona MDK?

Dado que Nitisinona MDK es un medicamento genérico y es bioequivalente al medicamento de referencia, sus beneficios y riesgos son los mismos que los del medicamento de referencia.

¿Por qué se ha aprobado Nitisinona MDK?

El CHMP concluyó que, de conformidad con los requisitos de la UE, Nitisinona MDK ha demostrado tener una calidad comparable y ser bioequivalente a Orfadin. Por tanto, la Agencia consideró que, al igual que en el caso de Nitisinona MDK, los beneficios son mayores que los riesgos identificados y recomendó autorizar su uso en la UE.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Nitisinona MDK?

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Nitisinona MDK se han incluido en la Ficha Técnica o Resumen de las Características del Producto y el Prospecto.

Otras informaciones sobre Nitisinona MDK:

La Comisión Europea emitió una autorización de comercialización válida en toda la Unión Europea para el medicamento Nitisinona MendeliKABS el 24 de agosto de 2017. El nombre del medicamento se cambió por Nitisinona MDK el 3 de octubre de 2017.

El EPAR completo de Nitisinona MDK puede consultarse en el sitio web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Para más información sobre el tratamiento con Nitisinona MDK, lea el prospecto (también incluido en el EPAR) o consulte a su médico o farmacéutico.

El texto completo del EPAR del medicamento de referencia se puede encontrar asimismo en la página web de la Agencia.

Fecha de la última actualización del presente resumen: 10-2017.