

COMUNICAT DE PRESĂ

Agenția Națională a Medicamentului și a Dispozitivelor Medicale din România prezintă în cele ce urmează traducerea în limba română a comunicatului de presă al Agenției Europene a Medicamentului (European Medicines Agency = EMA) referitor la recomandarea Agenției Europene privitoare la primul tratament cu administrare orală pentru tratarea alcaptonuriei, o tulburare metabolică rară.

18 septembrie 2020

Comunicat de presă EMA referitor la recomandarea Agenției Europene privitoare la primul tratament cu administrare orală pentru tratarea alcaptonuriei, o tulburare metabolică rară

Agenția Europeană a recomandat acordarea unei extensii a indicației terapeutice pentru medicamentul Orfadin (*nitizinsonă*), în vederea includerii tratamentului alcaptonuriei la pacienții adulți.

Această tulburare rară afectează una din 250.000 - 1 milion de persoane și este mai frecventă în anumite zone din Slovacia.

Tulburarea se caracterizează prin incapacitatea organismului de a metaboliza acidul homogentizic (HGA), din cauza absenței unei enzime. De obicei, persoanele care suferă de alcaptonurie dezvoltă artrită, în special la nivelul coloanei vertebrale și al articulațiilor mari, 50% dintre pacienți necesitând cel puțin o înlocuire articulară până la vârsta de 55 de ani. Totodată, persoanele afectate pot suferi și de afecțiuni cardiace și calculi renali.

În prezent, pentru tratarea alcaptonuriei nu există medicamente autorizate iar opțiunile de tratament se limitează la tratarea consecințelor bolii pe măsura apariției acestora, ceea ce evidențiază existența unei nevoi medicale neacoperite care vizează pacienții care prezintă această tulburare rară.

Medicamentul Orfadin este deja autorizat în Uniunea Europeană (UE), cu indicație pentru tratamentul tirozinemiei ereditare de tip 1 (HT-1), o boală rară caracterizată de incapacitatea organismului de a descompune complet aminoacidul tirozină, cu consecința formării de substanțe nocive care produc probleme hepatice grave și cancer hepatic.

Nitizinsona, substanța activă conținută în medicamentul Orfadin, reduce excreția urinară și nivelurile sanguine de HGA.

Reducerea nivelurilor de HGA înainte de apariția unei pigmentări albastru-negru vizibile la nivelul cartilajului și țesutului conjunctiv previne dezvoltarea de semne și simptome debilitante ale bolii, care de obicei nu se manifestă până la vârsta adultă.

Dezvoltarea medicamentului Orfadin pentru tratamentul alcaptonuriei a fost facilitată de activitatea desfășurată în cadrul Programului de dezvoltare clinică a nitizinonei pentru tratarea alcaptonuriei (Clinical Development of Nitisinone for Alkaptonuria = DevelopAKUre) de către un consorțiu internațional de cercetare. Comisia Europeană a contribuit la finanțarea DevelopAKUre cu o subvenție de aproximativ 6 milioane de euro, în cadrul celui de-al șaptelea program-cadru (PC7), programul UE de finanțare pentru cercetare și inovare pentru anii 2007-2013.

Avizul Comitetului EMA pentru medicamente de uz uman (Committee for Medicinal Products for Human Use = CHMP) se bazează pe datele reieșite dintr-un studiu clinic cu o durată de patru ani, randomizat, de comparare a eficacității și siguranței tratamentului cu nitizinonă față de absența tratamentului. Studiul a inclus în total 138 de pacienți cu alcaptonurie, iar obiectivul său principal a constat din măsurarea reducerii nivelurilor de HGA în urină. Față de pacienții cărora nu li s-a administrat niciun tratament, în grupul celor cărora li s-a administrat nitizinonă s-a obținut o reducere de 99,7%. Totodată, studiul a permis și observarea unui efect favorabil al nitizinonei în ceea ce privește reducerea gradului de severitate a bolii conform unui set de parametri conveniți la nivel internațional - Indicele Scorului de Severitate al Alcaptonuriei (All Alkaptonuria Severity Score Index = scorul AKUSSI).

Cele mai frecvente reacții adverse observate în contextul studiilor clinice efectuate la pacienții cu alcaptonurie au fost niveluri crescute ale aminoacidului tirozină, tulburări oculare precum durere oculară și inflamație corneană (cheratopatie) și infecții ale căilor respiratorii.

Avizul adoptat de CHMP la reuniunea acestuia din luna septembrie 2020 constituie o etapă intermediară în procesul de punere a medicamentului Orfadin la dispoziția pacientului în noua indicație.

În cele ce urmează, avizul CHMP va fi transmis Comisiei Europene în vederea adoptării unei decizii privind acordarea unei autorizații de punere pe piață valabile în întreaga UE. Odată acordată această autorizație, la nivelul fiecărui stat membru se vor lua deciziile privind prețul și rambursarea, pe baza posibilului rol/posibilei utilizări a medicamentului în contextul sistemului național de sănătate al țării respective.

Notă

Solicitantul pentru extensia indicației medicamentului Orfadin este compania suedeză Orphan Biovitrum International AB.