

Public Summary SwissPAR du 29.04.2022

Nityr[®] (principe actif: nitisinone)

Première autorisation en Suisse : 24.01.2022

Médicament (comprimés) destiné au traitement de la tyrosinémie héréditaire de type 1 (HT-1) chez l'enfant, l'adolescent et l'adulte

Remarques concernant l'autorisation

Nityr est un médicament dont le principe actif est la nitisinone, disponible sous forme de comprimés en trois dosages.

Nityr a été autorisé en Suisse pour le traitement de la tyrosinémie héréditaire (HT-1) chez l'enfant, l'adolescent et l'adulte. Le traitement médicamenteux doit être accompagné d'un régime alimentaire spécifique.

Les patients atteints de HT-1 souffrent d'un déficit enzymatique¹ empêchant la bonne dégradation de la tyrosine, un acide aminé², ce qui entraîne la formation de substances nocives. Nityr bloque les enzymes responsables de la transformation de la tyrosine en substances nocives. De plus, le régime alimentaire spécifique empêche les concentrations excessives de tyrosine et d'autres acides aminés transformés en tyrosine dans l'organisme.

Nityr a été autorisé dans le cadre de la procédure simplifiée en vertu de l'art. 14, al. 1, let. a^{bis} de la loi sur les produits thérapeu-

tiques (LPT). La loi sur les produits thérapeutiques prévoit que certaines catégories de médicaments puissent être autorisées dans le cadre d'une procédure simplifiée lorsque cela est compatible avec les exigences en matière de qualité, de sécurité et d'efficacité, et qu'aucun intérêt de la Suisse ni aucun engagement international ne s'y opposent.

L'autorisation de Nityr repose sur celle du médicament Orfadin, qui contient le même principe actif et est autorisé en Allemagne depuis plus de 10 ans dans une indication et avec un dosage et un mode d'administration comparables.

Swissmedic a évalué les données relatives à la qualité du principe actif et du produit fini, mais n'a pas mené d'expertise scientifique complète propre concernant d'autres aspects. L'efficacité et la sécurité n'ont été examinées que sommairement.

Les conditions requises pour un SwissPAR (Swiss Public Assessment Report) complet et

¹ Enzymes : protéines qui, en tant que biocatalyseurs, contrôlent et accélèrent des réactions biochimiques dans l'organisme.

² Acides aminés : éléments de base pouvant être utilisés par l'organisme pour synthétiser des protéines.

un Public Summary SwissPAR établi à partir de ce dernier ne sont donc pas remplies. Swissmedic renvoie à l'autorisation du médicament de comparaison étranger : <https://www.ema.europa.eu>

Vous trouverez de plus amples informations sur l'autorisation simplifiée selon l'art. 14 LPTd dans la loi fédérale sur les médicaments

et les dispositifs médicaux (loi sur les produits thérapeutiques, LPTd).

Cette maladie étant une maladie rare et mettant en jeu le pronostic vital, le médicament a été autorisé en tant que médicament orphelin (*Orphan Drug*). Les médicaments orphelins sont des médicaments importants contre des maladies rares.

Informations complémentaires sur le médicament

L'information professionnelle et l'information destinée aux patients (notice d'emballage) n'étaient pas encore disponibles au moment de la publication du Public Summary SwissPAR relatif à Nityr. Dès que ce mé-

dicament sera disponible en Suisse, l'information professionnelle et l'information destinée aux patients pourront être consultées sur le site Internet suivant : www.swissmedicin.ch

Les professionnels de santé sont là pour répondre à toute autre question.

Les présentes informations sont basées sur les informations disponibles à la date de publication du SwissPAR. Les nouvelles connaissances concernant le médicament autorisé ne sont pas intégrées dans le Public Summary SwissPAR.

Les médicaments autorisés en Suisse sont sous la surveillance de Swissmedic. Swissmedic prendra les mesures qui s'imposent en cas de constatation de nouveaux effets indésirables ou en présence d'autres signaux de sécurité. De plus, Swissmedic recensera et publiera toute nouvelle connaissance susceptible d'avoir un impact sur la qualité, l'action ou la sécurité d'emploi de ce médicament. Au besoin, l'information sur le médicament sera adaptée.