EMA/669922/2022
EMEA/H/C/005378

Nulibry (*fosdenopterinum*)

Přehled pro přípravek Nulibry a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Nulibry a k čemu se používá?

Nulibry je léčivý přípravek používaný k léčbě pacientů s deficitem molybdenového kofaktoru typu A.

Deficit molybdenového kofaktoru typu A je dědičné onemocnění, při kterém pacienti nemají dostatek látky zvané „molybdenový kofaktor", což je molekula potřebná k produkci určitých enzymů. Bez těchto enzymů se v mozku hromadí toxické siřičitany a způsobují jeho poškození.

V případě onemocnění „typu A" je nepřítomnost molybdenového kofaktoru způsobena tím, že pacientům chybí látka zvaná „cyklický pyranopterin monofosfát", kterou tělo potřebuje k produkci molybdenového kofaktoru.

Deficit molybdenového kofaktoru typu A je vzácné onemocnění a přípravek Nulibry byl označen dne 20. září 2010 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění". Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete zde.

Přípravek Nulibry obsahuje léčivou látku fosdenopterin.

Jak se přípravek Nulibry používá?

Výdej přípravku Nulibry je vázán na lékařský předpis. Léčbu přípravkem Nulibry by měl zahájit a monitorovat zdravotnický pracovník, který má zkušenosti s léčbou dědičných poruch metabolismu.

Přípravek Nulibry se podává jednou denně formou infuze (kapání) do žíly. Doporučená dávka je 0,90 mg na kilogram tělesné hmotnosti. U pacientů mladších než jeden rok se doporučuje nižší počáteční dávka a pomalejší titrační schéma. Počáteční dávka a titrační schéma závisí na gestačním věku při narození. Pokud je toto onemocnění potvrzeno genetickým vyšetřením, léčba musí pokračovat po celý život.

Více informací o používání přípravku Nulibry naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Nulibry působí?

Léčivá látka v přípravku Nulibry, fosdenopterin, je syntetická forma cyklického pyranopterin monofosfátu. Vzhledem k tomu, že pacienti s deficitem molybdenového kofaktoru typu A nemají

© European Medicines Agency, 2022. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

dostatek cyklického pyranopterin monofosfátu, tento léčivý přípravek působí tak, že uvedenou látku nahrazuje. Tělo poté tuto látku používá k produkci molybdenového kofaktoru, což mu umožňuje začít produkovat enzymy závislé na molybdenu a snižovat hladiny siřičitanů v mozku.

Jaké přínosy přípravku Nulibry byly prokázány v průběhu studií?

Přínosy přípravku Nulibry byly zkoumány v pěti hlavních studiích, do kterých bylo zařazeno celkem 52 pacientů s deficitem molybdenového kofaktoru typu A. Tyto studie zkoumaly účinek přípravku Nulibry na přežití po jednom roce léčby. Výsledky u 15 pacientů léčených přípravkem Nulibry byly porovnány s předchozími údaji ze dvou studií, do kterých bylo zařazeno 37 pacientů, kteří neužívali přípravek Nulibry ani neabsolvovali jinou léčbu. Po jednom roce bylo naživu přibližně 93 % pacientů užívajících přípravek Nulibry v porovnání s přibližně 75 % pacientů, kteří neabsolvovali žádnou léčbu. Ze studií také vyplynulo, že časná léčba přípravkem Nulibry (tj. ještě před tím, než u pacientů dojde k závažnému poškození mozku) zachovává schopnost přijímat jídlo ústy a zlepšuje růst a vývoj motorických (pohybových) a kognitivních (duševních) funkcí.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Nulibry?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Nulibry (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou komplikace spojené s podáváním léčivého přípravku pomocí katétru (cévky).

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Nulibry je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Nulibry registrován v EU?

Vzhledem k tomu, že deficit molybdenového kofaktoru typu A je velmi vzácné onemocnění, studie nebyly rozsáhlé, přípravek Nulibry však prokázal svou účinnost při prodlužování doby přežití pacientů s deficitem molybdenového kofaktoru typu A. Ze studií rovněž vyplývá, že časná léčba přípravkem Nulibry zlepšuje kvalitu života pacientů a zpomaluje zhoršování onemocnění. Dosud zaznamenané nežádoucí účinky jsou považovány za zvladatelné. Vzhledem k závažnosti onemocnění a nedostatku stávajících možností léčby Evropská agentura pro léčivé přípravky rozhodla, že přínosy přípravku Nulibry převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Přípravek Nulibry byl registrován „za výjimečných okolností", neboť vzhledem ke vzácné povaze tohoto onemocnění nebylo možné o přípravku Nulibry získat úplné informace. Agentura každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace a tento přehled bude podle potřeby aktualizován.

Jaké informace o přípravku Nulibry nebyly dosud předloženy?

Jelikož přípravek Nulibry byl registrován za výjimečných okolností, společnost, která přípravek Nulibry dodává na trh, každoročně předloží veškeré nové informace o bezpečnosti a účinnosti přípravku Nulibry. Společnost navíc provede studii u pacientů s deficitem molybdenového kofaktoru typu A léčených přípravkem Nulibry v klinické praxi a předloží její výsledky, aby dále podrobněji popsala dlouhodobou bezpečnost a účinnost léčivého přípravku.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Nulibry?

Společnost, která přípravek Nulibry dodává na trh, poskytne všem zdravotnickým pracovníkům, u nichž se očekává, že budou přípravek Nulibry předepisovat, vzdělávací materiály, které by měly být sdíleny s pacienty nebo ošetřujícími osobami, u nichž se předpokládá, že budou přípravek Nulibry používat doma. Tyto materiály budou obsahovat pokyny k používání přípravku a infuzní diář.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Nulibry, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Nulibry průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Nulibry jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Nulibry

Další informace o přípravku Nulibry jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nulibry.