



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nulibry (*fosdenopterin*)

Общ преглед на Nulibry и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Nulibry и за какво се използва?

Nulibry е лекарство, което се използва за лечение на пациенти с дефицит на молибденов кофактор (MoCD) тип А.

MoCD тип А е наследствено заболяване, при което пациентите нямат в достатъчна степен вещество, наречено „молибденов кофактор“ — молекула, необходима за производството на определени ензими. Без тези ензими токсичният химикал сулфит се натрупва в мозъка, което причинява мозъчно увреждане.

При заболяването „тип А“ липсата на молибденов кофактор се дължи на липсата у пациентите на вещество, наречено „цикличен пираноптерин монофосфат (сРМР)“, от което тялото се нуждае за производството на молибденов кофактор.

MoCD тип А се счита за рядко заболяване и Nulibry е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 20 септември 2010 г. Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите [ТУК](#).

Nulibry съдържа активното вещество фосденоптерин (*fosdenopterin*).

Как се използва Nulibry?

Nulibry се отпуска по лекарско предписание. Лечението с Nulibry трябва да бъде започнато и наблюдавано от медицински специалист с опит в контролирането на наследствени метаболитни нарушения.

Nulibry се прилага под формата на инфузия (вливане) във вена веднъж дневно.

Препоръчителната доза е 0,90 mg на килограм телесно тегло. При пациенти на възраст под една година се препоръчват по-ниска начална доза и график за титриране. Началната доза и графикът за титриране зависят от гестационната възраст при раждане. Лечението трябва да продължи през целия живот, ако състоянието бъде потвърдено чрез генетично изследване.

За повече информация относно употребата на Nulibry вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands
Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us
Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Как действа Nulibry?

Активното вещество в Nulibry, фосденоптерин, е синтетична форма на cPMP. Тъй като при пациентите с MoCD тип А няма достатъчно cPMP, лекарството действа чрез замяна на това вещество. След това организмът използва това вещество, за да произвежда молибденов кофактор, като му позволява да започне да произвежда ензими, зависими от молибден, и да намалява нивата на сулфит в мозъка.

Какви ползи от Nulibry са установени в проучванията?

Ползите от Nulibry са проучени в пет основни проучвания, обхващащи общо 52 пациенти с MoCD тип А. Проучванията разглеждат ефекта на Nulibry върху преживяемостта след една година на лечение. Резултатите при 15-те пациенти, лекувани с Nulibry, са сравнени с исторически данни от две проучвания при 37 пациенти, които не са приемали Nulibry или друго лечение. След една година около 93 % от пациентите, приемащи Nulibry, са живи в сравнение с около 75 % от пациентите, които не са лекувани. Проучванията показват също, че ранното лечение с Nulibry (т.е. преди пациентите да развият значително мозъчно увреждане) запазва способността за прием на храна през устата и подобрява растежа и развитието на моторните (двигателни) и когнитивните (умствени) функции.

Какви са рисковете, свързани с Nulibry?

Най-честите нежелани реакции при Nulibry (които може да засегнат повече от 1 на 10 души) са усложнения, свързани с катетъра (тръбичката), доставящ лекарството.

За пълния списък на нежеланите реакции, съобщени при Nulibry, вижте листовката.

Защо Nulibry е разрешен за употреба в ЕС?

Тъй като MoCD тип А е много рядко заболяване, проучванията са малки, но е показано, че Nulibry е ефективен за подобряване на преживяемостта на пациентите с MoCD тип А. Проучванията показват също, че ранното лечение с Nulibry подобрява качеството на живот на пациентите и забавя развитието на заболяването. Счита се, че установените към днешна дата нежелани реакции могат да бъдат овладени. Предвид сериозността на заболяването и липсата на съществуващи лечения Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от Nulibry са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Nulibry е разрешен за употреба при „извънредни обстоятелства“. Причината е, че не е било възможно да се получи пълна информация за Nulibry поради рядкото разпространение на заболяването. Всяка година Агенцията ще извършва преглед на новата информация и настоящото резюме съответно ще се актуализира.

Каква информация се очаква за Nulibry?

Тъй като Nulibry е разрешен за употреба при „извънредни обстоятелства“, фирмата, която предлага Nulibry, ще предоставя ежегодни актуализации на всяка нова информация относно безопасността и ефикасността на Nulibry. В допълнение фирмата ще проведе и представи резултатите от проучване при пациенти с MoCD тип А, лекувани с Nulibry в клиничната практика, за допълнително характеризиране на дългосрочната безопасност и ефикасност на лекарството.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Nulibry?

Фирмата, която предлага Nulibry, ще предостави обучителни материали за всички медицински специалисти, от които се очаква да предписват Nulibry, които следва да бъдат споделени с пациентите или болногледачите, от които се очаква да използват Nulibry в домашни условия. Материалите ще включват указания как да се използва лекарството и дневник на инфузията.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Nulibry, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени също в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Nulibry непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Nulibry, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Nulibry:

Допълнителна информация за Nulibry можете да намерите на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nulibry.