



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Nulibry (*fosdenopterin*)

En oversigt over Nulibry, og hvorfor det er godkendt i EU

### Hvad er Nulibry, og hvad anvendes det til?

Nulibry er et lægemiddel, der anvendes til behandling af patienter med molybdæn cofaktormangel (MoCD) type A.

MoCD type A er en arvelig sygdom, hvor patienterne ikke har nok af et stof, der kaldes "molybdæn cofaktor", et molekyle, der er nødvendigt for at danne visse enzymer. Uden disse enzymer ophobes den giftige kemiske sulfid i hjernen og medfører hjerneskade.

I sygdommens type A-form skyldes manglen på molybdæn cofaktor, at patienterne mangler et stof kaldet "cyklisk pyranopterinmonophosphat (cPMP)", som kroppen har brug for til at producere molybdæn cofaktor.

MoCD type A er sjælden, og Nulibry blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 20. september 2010. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme kan findes [her](#).

Nulibry indeholder det aktive stof fosdenopterin.

### Hvordan anvendes Nulibry?

Nulibry fås kun på recept. Behandlingen med Nulibry bør indledes og overvåges af en sundhedsperson, der har erfaring med behandling af arvelige metabolismefejl.

Nulibry gives som en infusion (drop) i en vene én gang dagligt. Den anbefalede dosis er 0,90 mg pr. kilo legemsvægt. Til patienter under et år anbefales en lavere startdosis og en lavere titreringsplan. Startdosen og titreringsplanen afhænger af svangerskabsugen ved fødslen. Hvis tilstanden bekræftes ved gentest, skal behandlingen fortsætte hele livet.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Nulibry, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

### Hvordan virker Nulibry?

Det aktive stof i Nulibry, fosdenopterin, er en syntetisk form af cPMP. Da patienter med MoCD type A ikke har tilstrækkeligt med cPMP, virker lægemidlet ved at erstatte dette stof. Kroppen bruger derefter



dette stof til at producere molybdæn cofaktor, så den kan begynde at producere molybdænafhængige enzymer og reducere sulfithiveauerne i hjernen.

## **Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Nulibry?**

Fordelene ved Nulibry blev undersøgt i fem hovedstudier med i alt 52 patienter med MoCD type A. I studierne så man nærmere på Nulibrys virkning på overlevelsen efter et års behandling. Resultaterne for de 15 patienter, der blev behandlet med Nulibry, blev sammenlignet med historiske data fra to studier med 37 patienter, som ikke fik Nulibry eller nogen anden behandling. Efter et år var ca. 93 % af de patienter, der fik Nulibry, stadig i live sammenholdt med ca. 75 % af dem, der ikke fik nogen behandling. Studierne viste også, at tidlig behandling med Nulibry (dvs. før patienterne udvikler større hjerneskader) bevarer evnen til at indtage mad gennem munden og forbedrer væksten og udviklingen af motoriske (bevægelses-) og kognitive (mentale) funktioner.

## **Hvilke risici er der forbundet med Nulibry?**

De hyppigste bivirkninger ved Nulibry (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) er komplikationer forbundet med det kateter (den slange), som lægemidlet administreres gennem.

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Nulibry fremgår af indlægssedlen.

## **Hvorfor er Nulibry godkendt i EU?**

Da MoCD type A er en meget sjælden sygdom, var studierne små, men Nulibry viste sig effektivt til at forbedre overlevelsen hos patienter med MoCD type A. Studierne viser også, at tidlig behandling med Nulibry forbedrer patienternes livskvalitet og forsinker sygdommens udvikling. De bivirkninger, der er set indtil nu, anses for at være håndterbare. Fordi sygdommen er alvorlig og der er mangel på behandlingsmuligheder, konkluderede Det Europæiske Lægemiddelagentur, at fordelene ved Nulibry opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Nulibry er godkendt under "særlige omstændigheder". Det skyldes, at det grundet sygdommens sjældenhed ikke har været muligt at indhente fyldestgørende oplysninger om Nulibry. Hvert år gennemgår agenturet alle nye oplysninger, der måtte foreligge, og ajourfører om nødvendigt denne oversigt.

## **Hvilke oplysninger afventes der stadig for Nulibry?**

Da Nulibry er blevet godkendt under særlige omstændigheder, skal virksomheden, der markedsfører Nulibry, fremlægge årlige opdateringer om eventuelle nye oplysninger om sikkerheden og virkningen af Nulibry. Virksomheden skal desuden gennemføre og fremlægge resultaterne af et studie af patienter med MoCD type A, som behandles med Nulibry i klinisk praksis, med henblik på yderligere at præcisere lægemidlets sikkerhed og virkning på lang sigt.

## **Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Nulibry?**

Virksomheden, der markedsfører Nulibry, vil udlevere oplysningsmateriale til alle sundhedspersoner, der forventes at ordinere Nulibry. Dette materiale bør udleveres til patienter eller omsorgsgivere, der forventes at bruge Nulibry i hjemmet. Materialet vil omfatte anvisninger om brug af lægemidlet og en infusionsdagbog.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Nulibry.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brugen af Nulibry løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Nulibry vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

## **Andre oplysninger om Nulibry**

Yderligere information om Nulibry findes på agenturets websted under:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nulibry](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nulibry).