



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nulibry (*Fosdenopterin*)

Übersicht über Nulibry und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Nulibry und wofür wird es angewendet?

Nulibry ist ein Arzneimittel zur Behandlung von Patienten mit Molybdän-Cofaktor-Mangel (MoCD) Typ A.

MoCD Typ A ist eine Erbkrankheit, bei der die Patienten nicht genügend von einer Substanz mit der Bezeichnung „Molybdän-Cofaktor“ haben, ein Molekül, das für die Produktion bestimmter Enzyme benötigt wird. Ohne diese Enzyme reichert sich das toxische chemische Sulfit im Gehirn an, was zu Hirnschäden führt.

Bei der Form „Typ A“ der Erkrankung ist das Fehlen des Molybdän-Cofaktors darauf zurückzuführen, dass Patienten eine Substanz mit der Bezeichnung „zyklisches Pyranopterin-Monophosphat (cPMP)“ fehlt, die der Körper zur Bildung des Molybdän-Cofaktors benötigt.

MoCD Typ A ist „selten“, und Nulibry wurde am 20. September 2010 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie [hier](#).

Nulibry enthält den Wirkstoff Fosdenopterin.

Wie wird Nulibry angewendet?

Nulibry ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich. Die Behandlung mit Nulibry sollte von einem Angehörigen der Heilberufe eingeleitet und überwacht werden, der über Erfahrung in der Behandlung erblicher Stoffwechselstörungen verfügt.

Nulibry wird einmal täglich als Infusion (Tropfinfusion) in eine Vene verabreicht. Die empfohlene Dosis beträgt 0,90 mg pro Kilogramm Körpergewicht. Für Patienten unter einem Jahr werden eine niedrigere Anfangsdosis und ein niedrigeres Titrationsschema empfohlen. Die Anfangsdosis und das Titrationsschema richten sich nach dem Gestationsalter bei der Geburt. Falls die Erkrankung durch genetische Tests bestätigt wird, muss die Behandlung lebenslang fortgesetzt werden.

Weitere Informationen zur Anwendung von Nulibry entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

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



Wie wirkt Nulibry?

Der Wirkstoff in Nulibry, Fosdenopterin, ist eine synthetische Form von cPMP. Da Patienten mit MoCD Typ A nicht genügend cPMP haben, wirkt das Arzneimittel, indem es diesen Stoff ersetzt. Der Körper verwendet diese Substanz dann zur Bildung von Molybdän-Cofaktor, was es ihm ermöglicht, mit der Produktion von Molybdän-abhängigen Enzymen zu beginnen und die Sulfitkonzentration im Gehirn zu senken.

Welchen Nutzen hat Nulibry in den Studien gezeigt?

Der Nutzen von Nulibry wurde in fünf Hauptstudien untersucht, an denen insgesamt 52 Patienten mit MoCD Typ A teilnahmen. In den Studien wurde die Wirkung von Nulibry auf das Überleben nach einem Behandlungsjahr untersucht. Die Ergebnisse bei den 15 mit Nulibry behandelten Patienten wurden mit historischen Daten aus zwei Studien mit 37 Patienten verglichen, die weder Nulibry noch eine andere Behandlung erhielten. Nach einem Jahr lebten etwa 93 % der Patienten, die Nulibry anwendeten, im Vergleich zu etwa 75 % der Patienten, die keine Behandlung erhielten. Die Studien wiesen auch darauf hin, dass eine frühzeitige Behandlung mit Nulibry (d. h. bevor die Patienten größere Hirnschäden entwickeln) die Fähigkeit zur oralen Nahrungsaufnahme bewahrt und das Wachstum und die Entwicklung der motorischen (Bewegungs-) und kognitiven (mental) Funktionen verbessert.

Welche Risiken sind mit Nulibry verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Nulibry (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind Komplikationen im Zusammenhang mit dem Katheter (der Röhre), der das Arzneimittel abgibt.

Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Nulibry berichteten Nebenwirkungen und Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Warum wurde Nulibry in der EU zugelassen?

Da es sich bei MoCD Typ A um eine sehr seltene Krankheit handelt, waren die Studien von begrenztem Umfang. Nulibry hat sich jedoch bei der Verbesserung des Überlebens von Patienten mit MoCD Typ A als wirksam erwiesen. Die Studien weisen auch darauf hin, dass eine frühzeitige Behandlung mit Nulibry die Lebensqualität der Patienten verbessert und das Fortschreiten der Erkrankung verzögert. Die bislang beobachteten Nebenwirkungen werden als beherrschbar erachtet. Angesichts der Schwere der Erkrankung und des Mangels an bestehenden Behandlungen gelangte die Europäische Arzneimittel-Agentur zu dem Schluss, dass der Nutzen von Nulibry gegenüber den Risiken überwiegt und dass es zur Anwendung in der EU zugelassen werden kann.

Nulibry wurde unter „außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass es aufgrund der Seltenheit der Krankheit nicht möglich war, vollständige Informationen über Nulibry zu erlangen. Die Agentur wird jedes Jahr sämtliche neuen Informationen prüfen, die verfügbar werden, und die vorliegende Übersicht wird gegebenenfalls aktualisiert.

Welche Informationen werden für Nulibry noch erwartet?

Da Nulibry unter „Außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen wurde, wird das Unternehmen, das Nulibry in Verkehr bringt, jährliche Aktualisierungen aller neuen Informationen zur Sicherheit und Wirksamkeit von Nulibry bereitstellen. Darüber hinaus wird das Unternehmen in der klinischen Praxis eine Studie mit Patienten mit MoCD Typ A, die mit Nulibry behandelt wurden, durchführen und deren Ergebnisse vorlegen, um die langfristige Sicherheit und Wirksamkeit des Arzneimittels genauer zu charakterisieren.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Nulibry ergriffen?

Das Unternehmen, das Nulibry in den Verkehr bringt, wird allen Angehörigen der Heilberufe, die Nulibry voraussichtlich verschreiben werden, Schulungsmaterialien zur Verfügung stellen, die an Patienten oder Betreuungspersonen, die Nulibry voraussichtlich zu Hause anwenden werden, weitergegeben werden sollten. Das Material wird Anweisungen zur Anwendung des Arzneimittels sowie ein Infusionstagebuch enthalten.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Nulibry, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Nulibry kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Nulibry werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Nulibry

Weitere Informationen über Nulibry finden Sie auf den Internetseiten der Agentur: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nulibry.