



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nulibry (φωσδενοπερίνη)

Ανασκόπηση του Nulibry και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Nulibry και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Nulibry είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ασθενών με ανεπάρκεια του συμπαράγοντα μολυβδαινίου (MoCD) τύπου A.

Η MoCD τύπου A είναι μια κληρονομική νόσος κατά την οποία οι ασθενείς δεν διαθέτουν επαρκή ποσότητα μιας ουσίας που ονομάζεται «συμπαράγοντας μολυβδαινίου», ένα μόριο που απαιτείται για την παραγωγή ορισμένων ενζύμων. Χωρίς αυτά τα ένζυμα, το τοξικό χημικό θειώδες συσσωρεύεται στον εγκέφαλο προκαλώντας εγκεφαλική βλάβη.

Στη μορφή της νόσου «τύπου A», η απουσία συμπαράγοντα μολυβδαινίου οφείλεται στο γεγονός ότι οι ασθενείς δεν διαθέτουν μια ουσία που ονομάζεται «κυκλική μονοφωσφορική πυρανοπερίνη (cPMP)», την οποία το σώμα χρειάζεται για να παράγει συμπαράγοντα μολυβδαινίου.

Η MoCD τύπου A είναι «σπάνια» και το Nulibry χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 20 Σεπτεμβρίου 2010. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε [εδώ](#).

Το Nulibry περιέχει τη δραστική ουσία φωσδενοπερίνη.

Πώς χρησιμοποιείται το Nulibry;

Το Nulibry χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Η έναρξη και η επίβλεψη της θεραπείας με Nulibry πρέπει να πραγματοποιείται από επαγγελματία του τομέα της υγείας με εμπειρία στη διαχείριση κληρονομικών μεταβολικών διαταραχών.

Το Nulibry χορηγείται με ενδοφλέβια έγχυση (στάγδην χορήγηση) μία φορά την ημέρα. Η συνιστώμενη δόση είναι 0,90 mg ανά κιλό σωματικού βάρους. Για ασθενείς ηλικίας κάτω του ενός έτους συνιστάται μικρότερη δόση έναρξης και πρόγραμμα πιλοποίησης (ρύθμισης) δόσεων. Η δόση έναρξης και το πρόγραμμα πιλοποίησης δόσεων εξαρτώνται από την ηλικία κύησης κατά τη γέννηση. Εάν η πάθηση επιβεβαιωθεί με γενετικό έλεγχο, η θεραπεία πρέπει να συνεχίζεται για όλη τη διάρκεια της ζωής.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Nulibry, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

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



Πώς δρα το Nulibry;

Η δραστική ουσία του Nulibry, η φωσδενοπερίνη, είναι συνθετική μορφή της cPMP. Καθώς οι ασθενείς με MoCD τύπου A δεν έχουν αρκετή cPMP, το φάρμακο δρα αντικαθιστώντας αυτή την ουσία. Στη συνέχεια, ο οργανισμός χρησιμοποιεί την ουσία για την παραγωγή συμπαράγοντα μολυβδαινίου. Μπορεί έτσι να αρχίσει να παράγει ένζυμα εξαρτώμενα από το μολυβδαινίο και να μειώσει τα επίπεδα θειώδους οξέος στον εγκέφαλο.

Ποια είναι τα οφέλη του Nulibry σύμφωνα με τις μελέτες;

Τα οφέλη του Nulibry μελετήθηκαν σε πέντε κύριες μελέτες στις οποίες μετείχαν συνολικά 52 ασθενείς με MoCD τύπου A. Οι μελέτες εξέτασαν την επίδραση του Nulibry στην επιβίωση μετά από ένα έτος θεραπείας. Τα αποτελέσματα στους 15 ασθενείς που έλαβαν Nulibry συγκρίθηκαν με τα ιστορικά δεδομένα από δύο μελέτες στις οποίες μετείχαν 37 ασθενείς που δεν έλαβαν Nulibry ή άλλη θεραπεία. Μετά από ένα έτος, το 93% περίπου των ασθενών που έλαβαν Nulibry ήταν εν ζωή σε σύγκριση με το 75% περίπου των ασθενών που δεν έλαβαν καμία θεραπεία. Οι μελέτες κατέδειξαν επίσης ότι η έγκαιρη θεραπεία με Nulibry (ήτοι προτού οι ασθενείς εμφανίσουν σοβαρή εγκεφαλική βλάβη) διατηρεί την ικανότητα λήψης τροφής από το στόμα και βελτιώνει την ανάπτυξη και την αύξηση της κινητικής (κίνησης) και των γνωστικών (ψυχικών) λειτουργιών.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Nulibry;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Nulibry (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερα από 1 στα 10 άτομα) είναι επιπλοκές που συνδέονται με τον καθετήρα (σωλήνα) που χορηγεί το φάρμακο.

Για τον πλήρη κατάλογο των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που έχουν αναφερθεί με το Nulibry, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Nulibry στην ΕΕ;

Δεδομένου ότι η MoCD τύπου A είναι πολύ σπάνια νόσος, οι μελέτες ήταν μικρές, αλλά το Nulibry αποδείχθηκε αποτελεσματικό στη βελτίωση της επιβίωσης των ασθενών με MoCD τύπου A. Οι μελέτες κατέδειξαν επίσης ότι η έγκαιρη θεραπεία με Nulibry βελτιώνει την ποιότητα ζωής των ασθενών και καθυστερεί την εξέλιξη της νόσου. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που έχουν παρατηρηθεί μέχρι σήμερα θεωρούνται αντιμετωπίσιμες. Δεδομένης της σοβαρότητας της πάθησης και της έλλειψης υφιστάμενων θεραπειών, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Nulibry υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Το Nulibry εγκρίθηκε με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων», διότι, λόγω της σπανιότητας της ασθένειας, δεν κατέστη δυνατή η συγκέντρωση ολοκληρωμένων πληροφοριών για το Nulibry. Ο Οργανισμός θα επανεξετάζει ετησίως κάθε νέο πληροφοριακό στοιχείο που θα είναι διαθέσιμο και η παρούσα ανασκόπηση θα ενημερώνεται αναλόγως.

Ποια στοιχεία για το Nulibry αναμένεται να υποβληθούν;

Δεδομένου ότι το Nulibry εγκρίθηκε με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων», η εταιρεία που εμπορεύεται το Nulibry θα παρέχει ετήσια ενημέρωση σχετικά με κάθε νέα πληροφορία για την ασφάλεια και την αποτελεσματικότητα του Nulibry. Επιπλέον, σύμφωνα με την κλινική πρακτική, η εταιρεία θα διεξαγάγει και θα υποβάλει τα αποτελέσματα μιας μελέτης σε ασθενείς με MoCD τύπου A που έλαβαν θεραπεία με Nulibry, για τον περαιτέρω χαρακτηρισμό της μακροπρόθεσμης ασφάλειας και αποτελεσματικότητας του φαρμάκου.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Nulibry;

Η εταιρεία που εμπορεύεται το Nulibry θα παράσχει εκπαιδευτικό υλικό σε όλους τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας που αναμένεται να συνταγογραφήσουν το Nulibry, το οποίο θα πρέπει να διανεμηθεί σε ασθενείς ή φροντιστές που αναμένεται να χρησιμοποιήσουν το Nulibry στο σπίτι. Το υλικό θα περιλαμβάνει οδηγίες σχετικά με τον τρόπο χρήσης του φαρμάκου και ημερολόγιο έγχυσης.

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν επίσης συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Nulibry.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Nulibry τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Nulibry αξιολογούνται προσεκτικά και λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Nulibry

Περισσότερες πληροφορίες για το Nulibry διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nulibry.