



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Nulibry (*fosdenopterina*)

Información general sobre Nulibry y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

### ¿Qué es Nulibry y para qué se utiliza?

Nulibry es un medicamento que se utiliza para el tratamiento de pacientes con deficiencia de cofactor de molibdeno (DCMo) tipo A.

La DCMo tipo A es una enfermedad hereditaria en la que los pacientes no tienen suficiente cantidad de una sustancia denominada «cofactor de molibdeno», una molécula necesaria para la producción de determinadas enzimas. Sin estas enzimas, los sulfitos (sustancia química tóxica) se acumula en el cerebro causando daños cerebrales.

En la forma «tipo A» de la enfermedad, la ausencia de cofactor de molibdeno se debe a que los pacientes carecen de una sustancia denominada «piranopterina cíclica monofosfato (cPMP)», que el organismo necesita para fabricar cofactor de molibdeno.

La DCMo tipo A es una enfermedad «rara», y Nulibry fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 20 de septiembre de 2010. Puede encontrar información adicional sobre la designación como medicamento huérfano [aquí](#).

Nulibry contiene el principio activo fosdenopterina.

### ¿Cómo se usa Nulibry?

Nulibry solo se podrá dispensar con receta médica. El tratamiento con Nulibry debe iniciarlo y supervisarlo un profesional sanitario con experiencia en el tratamiento de trastornos metabólicos hereditarios.

Nulibry se administra mediante perfusión (goteo) en vena una vez al día. La dosis recomendada es de 0,90 mg por kilogramo de peso corporal. En los pacientes menores de un año de edad se recomienda una dosis inicial y un plan de ajuste de dosis más bajos. La dosis inicial y el plan de ajuste de la dosis dependen de la edad gestacional al nacer. El tratamiento debe continuar durante toda la vida si la enfermedad se confirma mediante pruebas genéticas.

Para mayor información sobre el uso de Nulibry consulte el prospecto o póngase en contacto con su médico o farmacéutico.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)  
**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **¿Cómo actúa Nulibry?**

El principio activo de Nulibry, la fosdenopterina, es una forma sintética de la cPMP. Dado que los pacientes con DCMo tipo A no tienen suficiente cPMP, el medicamento actúa sustituyendo esta sustancia. A continuación, el organismo utiliza esta sustancia para producir cofactor de molibdeno, lo que le permite empezar a producir enzimas dependientes del molibdeno y reducir los niveles de sulfito en el cerebro.

## **¿Qué beneficios ha demostrado tener Nulibry en los estudios realizados?**

Los beneficios de Nulibry se estudiaron en cinco estudios principales en los que participaron un total de 52 pacientes con DCMo tipo A. En los estudios se examinó el efecto de Nulibry sobre la supervivencia al cabo de un año de tratamiento. Los resultados en los 15 pacientes tratados con Nulibry se compararon con los datos históricos de dos estudios en los que participaron 37 pacientes que no recibieron Nulibry ni ningún otro tratamiento. Al cabo de un año, alrededor del 93 % de los pacientes que utilizaron Nulibry seguían vivos, en comparación con alrededor del 75 % de los que no habían recibido tratamiento. Los estudios también indicaron que el tratamiento temprano con Nulibry (es decir, antes de que los pacientes presenten daños cerebrales importantes) preserva la capacidad de tomar alimentos por vía oral y mejora el crecimiento y el desarrollo de las funciones motoras (movimiento) y cognitivas (mentales).

## **¿Cuáles son los riesgos asociados a Nulibry?**

Los efectos adversos más frecuentes de Nulibry (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son complicaciones asociadas al catéter (tubo) a través del cual se administra el medicamento.

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Nulibry se puede consultar en el prospecto.

## **¿Por qué se ha autorizado Nulibry en la UE?**

Dado que el DCMo tipo A es una enfermedad muy rara, los estudios fueron pequeños, pero Nulibry demostró ser eficaz para mejorar la supervivencia de los pacientes que padecen DCMo tipo A. Los estudios también indican que el tratamiento temprano con Nulibry mejora la calidad de vida de los pacientes y retrasa la progresión de la enfermedad. Los efectos adversos observados hasta la fecha se consideran controlables. Dada la gravedad de la enfermedad y la ausencia de tratamientos alternativos, la Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Nulibry superan a sus riesgos y puede autorizarse su uso en la UE.

Nulibry se ha autorizado en «circunstancias excepcionales». Esto se debe a que no ha sido posible obtener información completa sobre Nulibry debido a la rareza de la enfermedad. La Agencia revisará anualmente la información nueva que esté disponible y actualizará esta información general cuando sea necesario.

## **¿Qué información falta todavía sobre Nulibry?**

Dado que Nulibry se ha autorizado en circunstancias excepcionales, la compañía que lo comercializa proporcionará actualizaciones anuales sobre cualquier nueva información relativa a la seguridad y la eficacia del medicamento. Además, la empresa llevará a cabo y presentará los resultados de un estudio de pacientes con DCMo tipo A tratados con Nulibry en la práctica clínica para caracterizar mejor la seguridad y la eficacia a largo plazo del medicamento.

## **¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Nulibry?**

La compañía que comercializa Nulibry proporcionará material informativo a todos los profesionales sanitarios que vayan a prescribir Nulibry. El material deberá compartirse con los pacientes o cuidadores que vayan a utilizar Nulibry en el entorno doméstico. El material incluirá instrucciones sobre cómo utilizar el medicamento y un diario de perfusión.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Nulibry se han incluido también en la ficha técnica o resumen de las características del producto y en el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Nulibry se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Nulibry son evaluados cuidadosamente y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

## **Otra información sobre Nulibry**

Puede encontrar información adicional sobre Nulibry en la página web de la Agencia:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nulibry](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nulibry).