



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Nulibry (fosdenopteriin)

### Ülevaade ravimist Nulibry ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

#### Mis on Nulibry ja milleks seda kasutatakse?

Nulibry on ravim, mida kasutatakse patsientide raviks, kellel on molübdeeni kofaktori A-tüüpi vaegus.

Molübdeeni kofaktori A-tüüpi vaegus on pärilik haigus, mille korral ei ole patsientidel piisavalt molübdeeni kofaktorit – molekuli, mida on vaja teatud ensüümide tootmiseks. Ilma nende ensüümideta koguneb sulfit (teatud toksiline kemikaal) ajju, põhjustades ajukahjustuse.

Haiguse A-tüüpi vormi korral on molübdeeni kofaktori puudumine tingitud sellest, et patsientidel puudub tsükliline püranopteriiinmonofosfaat (cPMP), mida organism vajab molübdeeni kofaktori tootmiseks.

Molübdeeni kofaktori A-tüüpi vaegus esineb harva ja Nulibry nimetati 20. septembril 2010 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetatud ravimi kohta on leitav [siin](#).

Nulibry sisaldab toimeainena fosdenopteriini.

#### Kuidas Nulibryt kasutatakse?

Nulibry on retseptiravim. Ravi Nulibryga peab alustama ja jälgima pärilike ainevahetushäirete ravis kogenud arst.

Ravimit manustatakse veeniinfusioonina üks kord ööpäevas. Soovitatav annus on 0,90 mg kehamassi kg kohta. Alla 1-aastastel patsientidel on soovitatav kasutada väiksemat algannust ja tiitrimiskava. Algannus ja tiitrimiskava sõltuvad loote vanusest sündimisel (rasedusnädal). Ravi tuleb jätkata kogu elu, kui seisund on geenitestiga kinnitatud.

Lisateavet Nulibry kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

#### Kuidas Nulibry toimib?

Nulibry toimeaine fosdenopteriin on cPMP sünteetiline vorm. Et molübdeeni kofaktori A-tüüpi vaegusega patsientidel ei ole piisavalt cPMP-d, asendab ravim selle aine. Seejärel kasutab organism seda ainet molübdeeni kofaktori tootmiseks. See võimaldab organismil toota molübdeenist sõltuvaid ensüüme ning vähendada sulfiti sisaldust ajus.

---

**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



## Milles seisneb uuringute põhjal Nulibry kasulikkus?

Nulibry kasulikkust uuriti viies põhiuuringus, milles osales kokku 52 patsienti, kellel oli molübdeeni kofaktori A-tüüpi vaegus. Uuringutes vaadeldi Nulibry mõju elumusele pärast üheaastast ravi. Nulibryga ravitud 15 patsiendi tulemusi võrreldi varasemate andmetega kahest uuringust, milles osales 37 patsienti, kes ei saanud Nulibryt ega muud ravi. Ühe aasta pärast oli elus ligikaudu 93% Nulibryt kasutanud patsientidest ja ligikaudu 75% patsientidest, kes ei saanud ravi. Uuringud tõendasid ka, et varane ravi Nulibryga (st enne suure ajukahjustuse teket) säilitab suukaudse toitumise võime ning soodustab kasvu ja mootorsete (liigutuste) ja kognitiivsete (vaimsete) funktsioonide arengut.

## Mis riskid Nulibryga kaasnevad?

Nulibry kõige sagedamad kõrvalnähtud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on ravimi manustamise kateetriga (voolikuga) seotud tüsistused.

Nulibry kohta teatatud kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

## Miks Nulibry ELis heaks kiideti?

Et molübdeeni kofaktori A-tüüpi vaegus on väga harvaesinev haigus, olid uuringud väiksemahulised, kuid tõendasid, et Nulibry oli efektiivne molübdeeni kofaktori A-tüüpi vaegusega patsientide elumuse suurendamisel. Uuringud tõendavad ka, et varajane ravi Nulibryga parandab patsientide elukvaliteeti ja aeglustab haiguse progresseerumist. Seni täheldatud kõrvalnähte peetakse hallatavaks. Arvestades haiguse raskust ja olemasolevate ravimeetodite puudumist, otsustas Euroopa Ravimiamet, et Nulibry kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Nulibry on saanud müügiloa erandlikel asjaoludel. See tähendab, et harvaesineva haiguse tõttu ei olnud võimalik saada Nulibry kohta täielikku teavet. Amet vaatab igal aastal läbi kogu uue teabe ja vajaduse korral uuendab käesolevat ülevaadet.

## Mis teavet Nulibry kohta veel oodatakse?

Et Nulibry on saanud müügiloa erandlikel asjaoludel, esitab Nulibry turustaja igal aastal ajakohast teavet Nulibry ohutuse ja efektiivsuse kohta. Lisaks korraldab ettevõtte ravimi pikaajalise ohutuse ja efektiivsuse edasiseks iseloomustamiseks kliinilises praktikas molübdeeni kofaktori A-tüüpi vaegusega Nulibryga ravitud patsientide uuringu ja esitab selle tulemused.

## Mis meetmed võetakse, et tagada Nulibry ohutu ja efektiivne kasutamine?

Nulibry turustaja varustab kõik Nulibryt määravad arstid teabematerjaliga, mida tuleb jagada patsientidele või hooldajatele, kes eeldatavasti kasutavad Nulibryt kodus. Materjal sisaldab ravimi kasutamise juhiseid ja infusioonipäevikut.

Nulibry ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite puhul, tehakse Nulibry kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Nulibry kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

## Muu teave Nulibry kohta

Lisateave Nulibry kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nulibry](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nulibry).