



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nulibry (*fosdénoptérine*)

Aperçu de Nulibry et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Nulibry et dans quel cas est-il utilisé?

Nulibry est un médicament utilisé pour le traitement de patients présentant un déficit en cofacteur à molybdène (MoCD) de type A.

Le MoCD de type A est une maladie héréditaire dans laquelle les patients ne possèdent pas suffisamment d'une substance appelée «cofacteur de molybdène», une molécule nécessaire à la production de certaines enzymes. En l'absence de ces enzymes, la sulfite chimique toxique s'accumule dans le cerveau et provoque des lésions cérébrales.

Dans la forme «type A» de la maladie, l'absence de cofacteur de molybdène est due au fait que les patients manquent d'une substance appelée «monophosphate de pyranoptérine cyclique (cPMP)», dont l'organisme a besoin pour fabriquer le cofacteur de molybdène.

Le MoCD de type A est rare et Nulibry a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 20 septembre 2010. De plus amples informations sur les désignations de médicaments orphelins peuvent être trouvées [ici](#).

Nulibry contient la substance active fosdénoptérine.

Comment Nulibry est-il utilisé?

Nulibry n'est délivré que sur ordonnance. Le traitement par Nulibry doit être instauré et supervisé par un professionnel de santé expérimenté dans la prise en charge des troubles métaboliques héréditaires.

Nulibry est administré par perfusion (goutte-à-goutte) dans une veine une fois par jour. La dose recommandée est de 0,90 mg par kilogramme de poids corporel. Pour les patients âgés de moins d'un an, une dose de départ plus faible et un calendrier d'augmentation de la dose sont recommandés. La dose de départ et le calendrier d'augmentation de la dose dépendent de l'âge gestationnel à la naissance. Le traitement doit être poursuivi à vie si la maladie est confirmée par des tests génétiques.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Nulibry, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.



Comment Nulibry agit-il?

La substance active de Nulibry, la fosdénoptérine, est une forme synthétique du cPMP. Étant donné que les patients atteints de MoCD de type A ne présentent pas suffisamment de cPMP, le médicament agit en remplaçant cette substance. L'organisme utilise ensuite cette substance pour produire du cofacteur de molybdène, ce qui lui permet de commencer à produire des enzymes dépendantes du molybdène et de réduire les taux de sulfite dans le cerveau.

Quels sont les bénéfices de Nulibry démontrés au cours des études?

Les bénéfices de Nulibry ont été étudiés dans le cadre de cinq études principales portant sur un total de 52 patients atteints de MoCD de type A. Les études ont consisté à examiner l'effet de Nulibry sur la survie après un an de traitement. Les résultats obtenus chez les 15 patients traités par Nulibry ont été comparés aux données historiques issues de deux études portant sur 37 patients qui n'avaient pas reçu Nulibry ou un autre traitement. Après un an, environ 93 % des patients utilisant Nulibry étaient en vie, contre environ 75 % de ceux n'ayant reçu aucun traitement. Les études ont également indiqué qu'un traitement précoce par Nulibry (c'est-à-dire avant que les patients ne développent des lésions cérébrales majeures) préserve la capacité à prendre de la nourriture par voie orale et améliore la croissance et le développement des fonctions motrices (mouvements) et cognitives (mentales).

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Nulibry?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Nulibry (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont les complications associées à l'administration du médicament par le cathéter (tube).

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Nulibry, voir la notice.

Pourquoi Nulibry est-il autorisé dans l'UE?

Étant donné que le MoCD de type A est une maladie très rare, les études étaient de petite taille, mais Nulibry s'est avéré efficace pour améliorer la survie des patients atteints de MoCD de type A. Les études indiquent également qu'un traitement précoce par Nulibry améliore la qualité de vie des patients et retarde la progression de la maladie. Les effets indésirables observés à ce jour sont considérés comme gérables. Compte tenu de la gravité de la maladie et du manque de traitements existants, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Nulibry sont supérieurs à ses risques et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE.

Une autorisation de mise sur le marché «dans des circonstances exceptionnelles» a été délivrée pour Nulibry. En effet, il n'a pas été possible d'obtenir des informations complètes concernant Nulibry en raison de la rareté de la maladie. Chaque année, l'Agence examinera toute nouvelle information disponible et, le cas échéant, procédera à la mise à jour du présent aperçu.

Quelles informations sont encore en attente au sujet de Nulibry?

Une autorisation de mise sur le marché dans des circonstances exceptionnelles ayant été délivrée pour Nulibry, la société qui commercialise Nulibry fournira des mises à jour annuelles concernant toute nouvelle information relative à la sécurité et à l'efficacité de Nulibry. En outre, la société réalisera une étude sur des patients atteints de MoCD de type A traités par Nulibry dans la pratique clinique et en présentera les résultats afin de caractériser davantage la sécurité et l'efficacité à long terme du médicament.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Nulibry?

La société qui commercialise Nulibry fournira du matériel éducatif à tous les professionnels de santé susceptibles de prescrire Nulibry, qui devra être partagé avec les patients ou les soignants susceptibles d'utiliser Nulibry à domicile. Le matériel comprendra des instructions sur la façon d'utiliser le médicament et un calendrier de perfusion.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Nulibry ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Nulibry sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés avec Nulibry sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Nulibry:

Des informations sur Nulibry sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nulibry.