



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nulibry (*fosdenopterin*)

Pregled informacija o lijeku Nulibry i zašto je odobren u EU-u

Što je Nulibry i za što se koristi?

Nulibry je lijek koji se koristi za liječenje bolesnika s nedostatkom molibdenskog kofaktora (engl. molybdenum cofactor deficiency, MoCD) tipa A.

MoCD tipa A nasljedna je bolest kod koje bolesnici nemaju dovoljno tvari naziva „molibdenski kofaktor“, odnosno molekule potrebne za proizvodnju određenih enzima. Bez tih enzima toksični kemijski sulfid nakuplja se u mozgu uzrokujući oštećenje mozga.

Kod oblika bolesti „tipa A“ nedostatak molibdenskog kofaktora posljedica je toga što bolesnicima nedostaje tvar naziva „ciklički piranopterin monofosfat (cPMP)“, koja je tijelu potrebna za proizvodnju molibdenskog kofaktora.

MoCD tipa A rijetka je bolest, a Nulibry je dobio status „lijeka za rijetku bolest“ 20. rujna 2010. Više informacija o statusu lijeka za rijetku bolest možete naći [ovdje](#).

Nulibry sadrži djelatnu tvar fosdenopterin.

Kako se Nulibry primjenjuje?

Nulibry se izdaje samo na recept. Terapiju lijekom Nulibry treba započeti i nadzirati zdravstveni radnik s iskustvom u liječenju nasljednih metaboličkih poremećaja.

Nulibry se primjenjuje infuzijom (ukapavanjem) u venu jedanput na dan. Preporučena doza je 0,90 mg po kilogramu tjelesne težine. Za bolesnike mlađe od godinu dana preporučuju se niže početne doze i raspored titracije. Početna doza i raspored titracije ovise o gestacijskoj dobi pri rođenju. Liječenje treba nastaviti cijeli život ako se stanje potvrdi genetskim testiranjem.

Za više informacija o primjeni lijeka Nulibry pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Nulibry?

Djelatna tvar lijeka Nulibry, fosdenopterin, sintetički je oblik cPMP-a. Budući da bolesnici s MoCD-om tipa A nemaju dovoljno cPMP-a, lijek djeluje tako što zamjenjuje tu tvar. Tijelo zatim koristi tu tvar za

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



proizvodnju molibdenskog kofaktora, što mu omogućuje da počne proizvoditi enzime ovisne o molibdenu, čime se smanjuju razine sulfita u mozgu.

Koje su koristi od lijeka Nulibry utvrđene u ispitivanjima?

Koristi od lijeka Nulibry promatrane su u pet glavnih ispitivanja u kojima je sudjelovalo ukupno 52 bolesnika s MoCD-om tipa A. U ispitivanjima se promatrao učinak lijeka Nulibry na preživljenje nakon jedne godine liječenja. Rezultati u 15 bolesnika liječenih lijekom Nulibry uspoređeni su s povijesnim podacima iz dvaju ispitivanja koja su obuhvatila 37 bolesnika koji nisu primali lijek Nulibry ni bilo koju drugu terapiju. Nakon godinu dana oko 93 % bolesnika koji su primali lijek Nulibry bilo je živo, u usporedbi s oko 75 % bolesnika koji nisu primali terapiju. Ispitivanja su također pokazala da rano liječenje lijekom Nulibry (tj. prije nego što bolesnici razviju veliko oštećenje mozga) održava sposobnost uzimanja hrane kroz usta i poboljšava rast i razvoj motoričkih funkcija (kretanja) i kognitivnih (mentalnih) funkcija.

Koji su rizici povezani s lijekom Nulibry?

Najčešće nuspojave lijeka Nulibry (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) jesu komplikacije povezane s kateterom (cjevčicom) kroz koji se lijek primjenjuje.

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s primjenom lijeka Nulibry potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Nulibry odobren u EU-u?

Budući da je MoCD tipa A vrlo rijetka bolest, proveden je mali broj ispitivanja, ali se pokazalo da je Nulibry učinkovit u poboljšanju preživljenja bolesnika s MoCD-om tipa A. Ispitivanja također pokazuju da se ranim liječenjem lijekom Nulibry poboljšava kvaliteta života bolesnika i odgađa napredovanje bolesti. Smatra se da je moguće kontrolirati nuspojave koje su dosad uočene. S obzirom na ozbiljnost stanja i nedostatak postojećih terapija, Europska agencija za lijekove zaključila je da koristi od lijeka Nulibry nadmašuju s njim povezan rizik te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Lijek Nulibry odobren je u „iznimnim okolnostima“. Razlog tome je nemogućnost dobivanja potpunih informacija o lijeku Nulibry zbog male učestalosti bolesti. Svake godine Europska agencija za lijekove procjenjuje sve nove informacije koje postanu dostupne te se ovaj pregled informacija po potrebi ažurira.

Koje se još informacije očekuju o lijeku Nulibry?

Budući da je lijek Nulibry odobren u iznimnim okolnostima, tvrtka koja stavlja lijek Nulibry u promet dostavljat će sve nove informacije koje se odnose na sigurnost i djelotvornost lijeka Nulibry, ažurirane svake godine. Osim toga, tvrtka će provesti i dostaviti rezultate ispitivanja bolesnika s MoCD-om tipa A koji su liječeni lijekom Nulibry u kliničkoj praksi kako bi se dodatno odredila dugoročna sigurnost i djelotvornost lijeka.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Nulibry?

Tvrtka koja stavlja lijek Nulibry u promet dostavit će materijale za obuku svim zdravstvenim radnicima za koje se očekuje da će propisivati lijek Nulibry, koje je potrebno podijeliti bolesnicima ili njegovateljima za koje se očekuje da će primjenjivati lijek Nulibry u kućnom okruženju. Materijal će sadržavati upute o načinu primjene lijeka i dnevnik infuzija.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Nulibry nalaze se također u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Nulibry kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Nulibry pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Nulibry

Više informacija o lijeku Nulibry dostupno je na internetskim stranicama Agencije:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nulibry.