



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nulibry (*foszdenopterin*)

A Nulibry-re vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Nulibry és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Nulibry az A típusú molibdén-kofaktor-hiányban (MoCD) szenvedő betegek kezelésére alkalmazott gyógyszer.

Az A típusú MoCD egy örökletes betegség, amelyben a betegek szervezetében nem található elegendő mennyiségben a bizonyos enzimek előállításához szükséges, „molibdén-kofaktor” nevű anyag. Ezen enzimek nélkül a szulfitok, amelyek mérgező vegyületek, felhalmozódnak az agyban, ami agykárosodást okoz.

A betegség „A típusú” formájában a molibdén-kofaktor hiányát az okozza, hogy a betegek szervezetéből hiányzik az úgynevezett „ciklikus piranopterin-monofoszfát (cPMP)” nevű anyag, amelyre a szervezetnek a molibdén-kofaktor előállításához szüksége van.

Mivel az A típusú MoCD „ritkának” minősül, ezért a Nulibry-t 2010. szeptember 20-án „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről [itt](#) található.

A Nulibry hatóanyaga a foszdenopterin.

Hogyan kell alkalmazni a Nulibry-t?

A Nulibry csak receptre kapható. A Nulibry-vel végzett kezelést az örökletes anyagcsere-betegségek kezelésében tapasztalt egészségügyi szakembernek kell megkezdenie és felügyelnie.

A Nulibry-t vénás infúzióként, naponta egyszer kell beadni. Az ajánlott adag 0,90 mg/testtömegkilogramm. Az egy évesnél fiatalabb betegek esetében alacsonyabb kezdő dózis és titrálási ütemterv javasolt. A kezdő adag és a titrálási ütemterv a gesztációs életkortól függ. A kezelést egész életen át folytatni kell, ha a betegséget genetikai vizsgálattal igazolták.

A Nulibry alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

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



Hogyan fejti ki hatását a Nulibry?

A Nulibry hatóanyaga, a foszdenopterin, a cPMP szintetikus formája. Mivel az A típusú MoCD-ben szenvedő betegek szervezetében nincs elegendő cPMP, a gyógyszer ennek az anyagnak a helyettesítése révén fejti ki hatását. Ezután a szervezet ezt az anyagot molibdén-kofaktor termelésére használja, lehetővé téve, hogy megkezdődjön a molibdénfüggő enzimek termelése, és a szulfitok szintjének csökkentése az agyban.

Milyen előnyei voltak a Nulibry alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Nulibry előnyeit öt fő vizsgálatban tanulmányozták, amelyekben összesen 52, A típusú MoCD-ben szenvedő beteg vett részt. A vizsgálatok során a Nulibry túlélésre gyakorolt hatását tanulmányozták egy éves kezelést követően. A 15, Nulibry-vel kezelt beteg eredményeit két olyan, összesen 37 beteg részvételével végzett vizsgálatból származó történeti adatokkal hasonlították össze, amelyekben a betegek sem Nulibry-vel végzett, sem más kezelésben nem részesültek. Egy év elteltével a Nulibry-vel kezelt betegek mintegy 93%-a volt életben, míg a kezelésben nem részesülő betegeknél ez az arány körülbelül 75% volt. A vizsgálatok arra is utaltak, hogy a Nulibry-vel végzett korai kezelés (vagyis mielőtt a betegnél jelentős agyi károsodás következne be) fenntartja a szájon át történő táplálékfelvétel képességét, és fokozza a növekedést, valamint javítja a motoros (mozgási) és kognitív (mentális) funkciók fejlődését.

Milyen kockázatokkal jár a Nulibry alkalmazása?

A Nulibry leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a gyógyszert szállító katéterrel (csővel) összefüggő szövődmények.

A Nulibry alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Nulibry forgalomba hozatalát az EU-ban?

Mivel az A típusú MoCD nagyon ritka betegség, a vizsgálatok kis hatókörűek voltak, de a Nulibry hatásosnak bizonyult az A típusú MoCD-ben szenvedő betegek túlélésének javításában. A vizsgálatok arra is utalnak, hogy a Nulibry-vel végzett korai kezelés javítja a betegek életminőségét és késlelteti a betegség súlyosbodását. Az eddig tapasztalt mellékhatásokat kezelhetőnek tekintik. A betegség súlyosságára és a rendelkezésre álló kezelések hiányára tekintettel az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Nulibry alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

A Nulibry forgalomba hozatalát „kivételes körülmények” között engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a betegség alacsony előfordulási aránya miatt nem lehetett teljes körű információt gyűjteni a Nulibry-ről. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az áttekintést.

Milyen információk várhatók még a Nulibry-vel kapcsolatban?

Mivel a Nulibry forgalomba hozatalát kivételes körülmények között engedélyezték, a Nulibry-t forgalmazó vállalat minden évben naprakész tájékoztatást fog nyújtani a Nulibry biztonságosságával és hatásosságával kapcsolatos új információkról. Ezenkívül a gyógyszer hosszú távú biztonságosságának és hatásosságának további jellemzése érdekében a vállalat vizsgálatot végez A típusú MoCD-ben szenvedő, a klinikai gyakorlatban Nulibry-vel kezelt betegek körében, és benyújtja annak eredményeit.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Nulibry biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Nulibry-t forgalmazó vállalat oktatóanyagot fog biztosítani a gyógyszert várhatóan felíró összes egészségügyi szakember számára, amelyet meg kell osztani azokkal a betegekkel vagy gondozókkal, akik várhatóan otthoni környezetben fogják alkalmazni a Nulibry-t. Az anyag tartalmazni fogja a gyógyszer alkalmazására vonatkozó utasításokat, valamint egy infúziós naplót.

A Nulibry biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Nulibry alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Nulibry alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Nulibry-vel kapcsolatos egyéb információ

A Nulibry-vel kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nulibry.