



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nulibry (*fosdenopterina*)

Sintesi di Nulibry e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Nulibry e per cosa si usa?

Nulibry è un medicinale usato per il trattamento di pazienti con deficit di cofattore molibdeno (MoCD) di tipo A.

Il MoCD di tipo A è una malattia ereditaria in cui i pazienti presentano una carenza di una sostanza chiamata "cofattore molibdeno", una molecola necessaria per la produzione di determinati enzimi. Senza questi enzimi, la sostanza chimica tossica denominata solfito si accumula nel cervello causando danno cerebrale.

Nella malattia di "tipo A", l'assenza di cofattore molibdeno è dovuta alla mancanza nei pazienti di una sostanza chiamata "piranopterina monofosfato ciclica (cPMP)", di cui l'organismo necessita per produrre cofattore molibdeno.

Il MoCD di tipo A è raro e Nulibry è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 20 settembre 2010. Maggiori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili [qui](#).

Nulibry contiene il principio attivo fosdenopterina.

Come si usa Nulibry?

Nulibry può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento con Nulibry deve essere iniziato e controllato da un operatore sanitario esperto nella gestione dei disturbi metabolici ereditari.

Nulibry è somministrato per infusione (flebo) in vena una volta al giorno. La dose raccomandata è di 0,90 mg per chilogrammo di peso corporeo. Per i pazienti di età inferiore a un anno si raccomandano una dose iniziale e uno schema di titolazione inferiori. La dose iniziale e lo schema di titolazione dipendono dall'età gestazionale alla nascita. Il trattamento deve essere continuato per tutta la vita se la condizione è confermata da test genetici.

Per maggiori informazioni sull'uso di Nulibry, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.



Come agisce Nulibry?

Il principio attivo di Nulibry, fosdenopterina, è una forma sintetica del cPMP. Poiché i pazienti con MoCD di tipo A non hanno una quantità sufficiente di cPMP, il medicinale agisce sostituendo questa sostanza. L'organismo utilizza questa sostanza per produrre cofattore molibdeno, consentendogli di iniziare a produrre enzimi molibdeno-dipendenti e di ridurre i livelli di solfiti nel cervello.

Quali benefici di Nulibry sono stati evidenziati negli studi?

I benefici di Nulibry sono stati esaminati in cinque studi principali condotti su un totale di 52 pazienti affetti da MoCD di tipo A. Gli studi hanno esaminato l'effetto di Nulibry sulla sopravvivenza dopo un anno di trattamento. I risultati relativi ai 15 pazienti trattati con Nulibry sono stati confrontati con i dati storici di due studi condotti su 37 pazienti che non avevano assunto Nulibry o altri trattamenti. Dopo un anno, circa il 93 % dei pazienti trattati con Nulibry era in vita, rispetto a circa il 75 % di quelli che non hanno ricevuto alcun trattamento. Gli studi hanno anche indicato che il trattamento precoce con Nulibry (ossia prima che i pazienti sviluppino un importante danno cerebrale) preserva la capacità di assumere cibo per bocca e migliora la crescita e lo sviluppo delle funzioni motorie (movimento) e cognitive (mentali).

Quali sono i rischi associati a Nulibry?

Gli effetti indesiderati più comuni di Nulibry (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono complicazioni associate al catetere (tubo) che rilascia il medicinale.

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Nulibry, vedere il foglio illustrativo.

Perché Nulibry è autorizzato nell'UE?

Poiché MoCD di tipo A è una malattia molto rara, gli studi erano limitati, ma Nulibry si è dimostrato efficace nel migliorare la sopravvivenza dei pazienti affetti da MoCD di tipo A. Gli studi indicano inoltre che un trattamento precoce con Nulibry migliora la qualità di vita dei pazienti e ritarda la progressione della malattia. Gli effetti indesiderati osservati finora sono considerati gestibili. Data la gravità della condizione e l'assenza di trattamenti, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Nulibry sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Nulibry è stato autorizzato in "circostanze eccezionali" perché non è stato possibile ottenere informazioni complete su Nulibry a causa della rarità della malattia. Ogni anno l'Agenzia esaminerà le nuove informazioni disponibili e questa sintesi sarà aggiornata di conseguenza.

Quali informazioni sono ancora attese per Nulibry?

Poiché Nulibry è stato autorizzato in circostanze eccezionali, la ditta che commercializza Nulibry fornirà aggiornamenti annuali su qualsiasi nuova informazione relativa alla sicurezza e all'efficacia del medicinale. Inoltre, la ditta condurrà uno studio su pazienti affetti da MoCD di tipo A trattati con Nulibry nella pratica clinica e ne presenterà i risultati al fine di definire ulteriormente la sicurezza e l'efficacia a lungo termine del medicinale.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Nulibry?

La ditta che commercializza Nulibry fornirà materiale informativo a tutti gli operatori sanitari che potrebbero prescrivere il medicinale, da condividere con i pazienti/le persone che li assistono che si

prevede utilizzino Nulibry in ambito domiciliare. Il materiale conterrà istruzioni su come utilizzare il medicinale e un diario delle infusioni.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Nulibry sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Nulibry sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Nulibry sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Nulibry

Ulteriori informazioni su Nulibry sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

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