



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nulibry (*fosdenopterin*)

Nulibry apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas ES

Kas yra Nulibry ir kam jis vartojamas?

Nulibry – tai vaistas, skirtas gydyti pacientus, kuriems yra A tipo molibdeno kofaktoriaus stoka (MoKS).

A tipo MoKS yra įgimta liga, kuria sergančio paciento organizme trūksta medžiagos, vadinamos molibdeno kofaktoriumi, – molekulės, kurios reikia tam tikriems fermentams gaminti. Nesant šių fermentų, smegenyse kaupiasi toksiški cheminiai junginiai – sulfitai, kurie pažeidžia smegenis.

Sergant A tipo liga, molibdeno kofaktoriaus nėra dėl to, kad paciento organizme trūksta medžiagos, vadinamos cikliniu piranopterimonofosfatu (angl. *cyclic pyranopterin monophosphate*, *cPMP*), kurios organizmui reikia molibdeno kofaktoriui gaminti.

A tipo MoKS laikoma reta liga, todėl 2010 m. rugsėjo 20 d. Nulibry buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retiesiems vaistams rasite [čia](#).

Nulibry sudėtyje yra veikliosios medžiagos fosdenopterin.

Kaip vartoti Nulibry?

Nulibry galima įsigyti tik pateikus receptą. Gydytą Nulibry turi pradėti ir prižiūrėti sveikatos priežiūros specialistas, turintis įgimtų medžiagų apykaitos sutrikimų gydymo patirties.

Nulibry vartojamas infuzijos būdu (lašinamas į veną) kartą per parą. Rekomenduojama dozė yra 0,90 mg kilogramui kūno svorio. Jaunesniems nei vienerių metų pacientams rekomenduojama mažesnė pradinė dozė ir dozės laipsniško priderinimo planas. Pradinė dozė ir dozės laipsniško priderinimo planas priklauso nuo to, kokio gestacinio amžiaus kūdikis gimė. Jei atlikus genetinius tyrimus nustatoma ligos diagnozė, gydymą reikia tęsti visą gyvenimą.

Daugiau informacijos apie Nulibry vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Nulibry?

Veiklioji Nulibry medžiaga fosdenopterin yra sintetinė *cPMP* forma. A tipo MoKS sergančių pacientų organizme vaistas pakeičia trūkstamą *cPMP*. Žmogaus organizmas naudoja jį molibdeno kofaktoriui

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



gaminti, kad galėtų pagaminti nuo molibdeno priklausomų fermentų ir mažinti sulfitų kiekį galvos smegenyse.

Kokia Nulibry nauda nustatyta tyrimuose?

Nulibry poveikis buvo tiriamas atliekant penkis pagrindinius tyrimus, kuriuose dalyvavo iš viso 52 A tipo MoKS sergantys pacientai. Šiuose tyrimuose buvo vertinamas Nulibry poveikis pagal tai, ar gydomi pacientai išgyveno vienus metus. Rezultatai, gauti su 15 Nulibry gydytų pacientų, buvo lyginami su ankstesnių dviejų tyrimų, atliktų su 37 pacientais, kurie nebuvo gydomi nei Nulibry, nei kitais vaistais, duomenimis. Po vienu metų gyvi buvo maždaug 93 proc. Nulibry vartojusių pacientų ir maždaug 75 proc. pacientų, kuriems nebuvo taikomas joks gydymas. Tyrimai taip pat parodė, kad ankstyvas gydymas Nulibry (t. y. prieš atsirandant dideliame smegenų pažeidimui) padeda neprarasti gebėjimo maitintis per burną ir skatina augimą ir motorinių (judėjimo) ir kognityvinių (protinių) funkcijų vystymąsi.

Kokia rizika susijusi su Nulibry vartojimu?

Dažniausias Nulibry šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra komplikacijos, susijusios su kateteriu (prietaisu), per kurį suleidžiama vaisto.

Išsamų visų Nulibry šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Kodėl Nulibry buvo registruotas ES?

Kadangi A tipo MoKS yra labai reta liga, tyrimai buvo nedideli, bet nustatyta, kad Nulibry pailgina A tipo MoKS sergančių pacientų gyvenimo trukmę. Tyrimai taip pat rodo, kad ankstyvas gydymas Nulibry pagerina pacientų gyvenimo kokybę ir atitolina ligos progresavimą. Šiuo metu žinomus šalutinio poveikio reiškinius galima kontroliuoti. Atsižvelgdama į ligos sunkumą ir į tai, kad vaistų nuo jos nėra, Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Nulibry nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo leisti vartoti šį vaistą ES.

Nulibry registruotas išimtinėmis sąlygomis, nes dėl ligos retumo nebuvo įmanoma gauti visos informacijos apie jį. Agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją ir, prireikus, atnaujins šią santrauką.

Kokia informacija dar turi būti pateikta apie Nulibry?

Kadangi Nulibry registruotas išimtinėmis sąlygomis, juo prekiaujanti bendrovė kasmet pateiks visą naują informaciją apie Nulibry saugumą ir veiksmingumą. Be to, bendrovė atliks A tipo MoKS sergančių pacientų, kurie buvo gydomi Nulibry klinikinėje praktikoje, tyrimą ir pateiks jo rezultatus, kad pateiktų daugiau duomenų apie ilgalaikį šio vaisto saugumą ir veiksmingumą.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Nulibry vartojimą?

Nulibry prekiaujanti bendrovė visus sveikatos priežiūros specialistus, kurie galėtų skirti Nulibry savo pacientams, aprūpins mokomąja medžiaga, kuria reikia pasidalinti su pacientais arba jų slaugytojais, kurie šį vaistą turi vartoti savo namuose. Šioje medžiagoje bus pateikti vaisto vartojimo nurodymai ir infuzijų dienynas.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį taip pat bus įtrauktos saugaus ir veiksmingo Nulibry vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Nulibry vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Nulibry šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Nulibry

Daugiau informacijos apie Nulibry rasite Agentūros tinklalapyje adresu:

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