



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nulibry (*fosdenopterīns*)

Nulibry pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Nulibry* un kāpēc tās lieto?

Nulibry ir zāles, ko lieto, lai ārstētu pacientus ar A tipa molibdēna kofaktora deficītu (*MoCD*).

MoCD A tips ir iedzimta slimība, kad pacientiem nav pietiekami daudz vielas, ko sauc par "molibdēna kofaktoru" un kas ir molekula, kura nepieciešama noteiktu enzīmu sintēzei. Bez šiem enzīmiem smadzenēs uzkrājas toksisks ķīmiskais sulfīts, izraisot smadzeņu bojājumus.

Slimības "A tipa" formā molibdēna kofaktora trūkums ir saistīts ar to, ka pacientiem trūkst vielas, ko dēvē par "ciklisko piranopterīna monofosfātu (*cPMP*)" un kas organismam ir nepieciešams molibdēna kofaktora sintēzei.

MoCD A tips kā slimība ir "reta", un 2010. gada 20. septembrī *Nulibry* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Plašāka informācija par zāļu apzīmējumu reti sastopamu slimību ārstēšanai ir pieejama [šeit](#).

Nulibry satur aktīvo vielu fosdenopterīnu.

Kā lieto *Nulibry*?

Nulibry var iegādāties tikai pret recepti. Ārstēšana ar *Nulibry* ir jāsāk un jāuzrauga veselības aprūpes speciālistam ar pieredzi iedzimtu vielmaiņas slimību ārstēšanā.

Nulibry tiek ievadītas infūzijas veidā vēnā (pa pilienam) vienreiz dienā. Ieteicamā deva ir 0,90 mg uz kilogramu ķermeņa masas. Pacientiem, kuri jaunāki par vienu gadu, ieteicama mazāka sākuma deva un titrēšanas grafiks. Sākusdeva un titrēšanas grafiks ir atkarīgi no gestācijas vecuma dzimšanas brīdī. Ārstēšana jāturpina visu mūžu, ja šo slimību apstiprina ģenētiska testēšana.

Papildu informāciju par *Nulibry* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā *Nulibry* darbojas?

Nulibry aktīvā viela fosdenopterīns ir *cPMP* sintētiska forma. Tā kā pacientiem ar *MoCD* A tipu nav pietiekami daudz *cPMP*, zāles darbojas, aizstājot šo vielu. Pēc tam organisms izmanto šo vielu



molibdēna kofaktora sintēzei, ļaujot tam sākt producēt no molibdēna atkarīgus enzīmus un samazinot sulfītu līmeni smadzenēs.

Kādi *Nulibry* ieguvumi atklāti pētījumos?

Nulibry ieguvumus pētīja piecos pamatpētījumos, iesaistot kopumā 52 pacientus ar *MoCD A* tipu. Pētījumos vērtēja *Nulibry* ietekmi uz dzīvildzi pēc vienu gadu ilgas ārstēšanas. Rezultātus par 15 pacientiem, kurus ārstēja ar *Nulibry*, salīdzināja ar vēsturiskiem datiem no diviem pētījumiem ar 37 pacientiem, kuri nesaņēma *Nulibry* vai kādu citu terapiju. Pēc viena gada bija dzīvi aptuveni 93 % pacientu, kuri lietoja *Nulibry*, salīdzinājumā ar aptuveni 75 % pacientu, kuri nesaņēma ārstēšanu. Pētījumi arī liecināja, ka agrīna ārstēšana ar *Nulibry* (t. i., pirms pacientiem rodas būtiski smadzeņu bojājumi) saglabā spēju lietot pārtiku iekššķīgi un uzlabo augšanu un motorisko (kustību) un kognitīvo (garīgo) funkciju attīstību.

Kāds risks pastāv, lietojot *Nulibry*?

Visbiežākās *Nulibry* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir komplikācijas saistībā ar zāļu ievadīšanai izmantoto katetru (cauruli).

Pilnu visu blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Nulibry*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Kāpēc *Nulibry* ir reģistrētas ES?

Tā kā *MoCD A* tips ir ļoti reta slimība, pētījumi bija nelieli, bet tajos pierādīja, ka *Nulibry* efektīvi uzlabo dzīvildzi pacientiem ar *MoCD A* tipu. Pētījumi arī liecina, ka agrīna ārstēšana ar *Nulibry* uzlabo pacientu dzīves kvalitāti un aizkavē slimības progresēšanu. Līdz šim novērotās blakusparādības ir uzskatāmas par kontrolējamām. Ņemot vērā slimības nopietnību un pašreiz pieejamo terapiju trūkumu, Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Nulibry*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Nulibry ir reģistrētas "izņēmuma kārtā". Tas nozīmē, ka sakarā ar šīs slimības retumu nav bijis iespējams iegūt pilnīgu informāciju par *Nulibry*. Eiropas Zāļu aģentūra katru gadu pārbaudīs visu jauniegūto informāciju un vajadzības gadījumā atjauninās šo kopsavilkumu.

Kāda informācija par *Nulibry* vēl ir sagaidāma?

Tā kā *Nulibry* ir reģistrētas izņēmuma kārtā, uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Nulibry*, katru gadu iesniegs jaunāko informāciju par *Nulibry* drošumu un efektivitāti. Turklāt uzņēmums veiks pētījumu un iesniegs tā rezultātus par *MoCD A* tipa pacientiem, kuri klīniskajā praksē ārstēti ar *Nulibry*, lai sīkāk raksturotu zāļu ilgtermiņa drošumu un efektivitāti.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Nulibry* lietošanu?

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Nulibry*, visiem veselības aprūpes speciālistiem, kuri varētu izrakstīt *Nulibry*, nodrošinās izglītojošus materiālus, kas jādara zināmi pacientiem vai aprūpētājiem, kuri mājas apstākļos varētu lietot *Nulibry*. Materiālos tiks iekļautas instrukcijas par zāļu lietošanu un infūziju dienasgrāmata.

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti arī ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Nulibry* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Nulibry* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Nulibry* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Nulibry*

Sīkāka informācija par *Nulibry* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:

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