



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Nulibry (*fosdenopterin*)

Ħarsa ġenerali lejn Nulibry u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

### X'inhu Nulibry u għal xiex jintuża?

Nulibry huwa medċina użata għall-kura ta' pazjenti b'defiċjenza tal-kofattur tal-molibdenu (MoCD) tat-tip A.

MoCD tat-tip A hija marda li tintiret fejn il-pazjenti ma jkollhomx biżżejjed sustanza msejha 'kofattur tal-molibdenu', molekula meħtieġa għall-produzzjoni ta' ċerti enzimi. Mingħajr dawn l-enzimi, is-sulfit kimiku tossiku jakkumula fil-moħħ u jikkawża ħsara fil-moħħ.

Fil-forma tat-"tip A" tal-marda, in-nuqqas ta' kofattur tal-molibdenu huwa minħabba pazjenti li ma għandhomx sustanza msejha 'monofosfat ċikliku tal-piranopterin (cPMP)', li l-ġisem jeħtieġ biex jagħmel kofattur tal-molibdenu.

MoCD tat-tip A huwa rari, u Nulibry ġie denominat bħala 'medċina orfni' (medċina li tintuża f'mard rari) fl-20 ta' Settembru 2010. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tinstab [hawn](#).

Nulibry fih is-sustanza attiva fosdenopterin.

### Kif jintuża Nulibry?

Nulibry jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib. Il-kura b'Nulibry għandha tinbeda u tiġi sorveljata minn professjonist fil-qasam tal-kura tas-saħħa b'esperjenza fil-ġestjoni ta' disturbi metabolici ereditarji.

Nulibry jingħata bħala infużjoni (dripp) ġol-vina darba kuljum. Id-doża rakkomandata hija 0.90 mg għal kull kilogramm ta' piż tal-ġisem. Għal pazjenti li għandhom inqas minn sena, huma rakkomandati doża tal-bidu u skeda ta' titrazzjoni aktar baxxi. Id-doża tal-bidu u l-iskeda tat-titrazzjoni jiddependu mill-età ġestazzjonali fit-twelid. Il-kura jeħtieġ li titkompla tul il-ħajja jekk il-kundizzjoni tiġi kkonfermata permezz ta' ttestjar ġenetiku.

Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Nulibry, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

### Kif jaħdem Nulibry?

Is-sustanza attiva f'Nulibry, il-fosdenopterin, hija forma sintetika ta' cPMP. Peress li l-pazjenti b'MoCD tat-tip A m'għandhomx biżżejjed cPMP, il-medċina taħdem billi tissostitwixxi din is-sustanza. Il-ġisem

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)  
**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



imbagħad juża din is-sustanza biex jipproduċi l-kofattur tal-molibdenu, li jippermettilha tibda tipproduċi enzimi dipendenti fuq il-molibdenu u tnaqqas il-livelli ta' sulfid fil-moħħ.

## **X'inhuma l-benefiċċji ta' Nulibry li ħarġu mill-istudji?**

Il-benefiċċji ta' Nulibry ġew studjati f'fames studji ewlenin li involvew total ta' 52 pazjent b'MoCD tat-tip A. L-istudji ħarsu lejn l-effett ta' Nulibry fuq is-sopravivenza wara sena ta' kura. Ir-riżultati fil-15-il pazjent ikkurati b'Nulibry tqabblu ma' *data* storika minn żewġ studji li involvew 37 pazjent li ma ngħataw Nulibry jew xi kura oħra. Wara sena, madwar 93 % tal-pazjenti li kienu qed jużaw Nulibry kienu ħajjin meta mqabbla ma' madwar 75 % ta' dawk li ma ngħataw l-ebda kura. L-istudji indikaw ukoll li kura bikrija b'Nulibry (jiġifieri qabel ma l-pazjenti jiżviluppaw ħsara maġġuri fil-moħħ) tippriserva l-abbiltà li jittieħed l-ikel mill-ħalq, u ttejjeb it-tkabbir u l-iżvilupp ta' funzjonijiet motorji (tal-moviment) u konjittivi (mentali).

## **X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Nulibry?**

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Nulibry (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 10) huma kumplikazzjonijiet assoċjati mal-kateter (tubu) li jagħti l-mediċina.

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet ta' Nulibry, ara l-fuljett ta' tagħrif.

## **Għaliex Nulibry ġie awtorizzat fl-UE?**

Peress li MoCD tat-tip A hija marda rari ħafna, l-istudji kienu żgħar, iżda Nulibry intwera li huwa effettiv biex itejjeb is-sopravivenza tal-pazjenti b'MoCD tat-tip A. L-istudji jindikaw ukoll li kura bikrija b'Nulibry ttejjeb il-kwalità tal-ħajja tal-pazjenti u tittardja l-progressjoni tal-marda. L-effetti sekondarji li dehru sal-lum huma kkunsidrati maniġġabbli. Minħabba s-serjetà tal-kundizzjoni u n-nuqqas ta' kuri eżistenti, l-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini ddecidiet li l-benefiċċji ta' Nulibry huma akbar mir-riskji tiegħu u jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

Nulibry ġie awtorizzat taħt "ċirkostanzi ta' eċċezzjoni". Dan minħabba li ma kienx possibbli li tinkiseb informazzjoni kompluta dwar Nulibry minħabba r-rarità tal-marda. Kull sena, l-Aġenzija ser tirieżamina kull informazzjoni ġdida li ssir disponibbli u din il-ħarsa ġenerali tiġi aġġornata kif meħtieġ.

## **Liema informazzjoni għadha mistennija għal Nulibry?**

Minħabba li Nulibry ġie awtorizzat taħt ċirkostanzi ta' eċċezzjoni, il-kumpanija li tqiegħed Nulibry fis-suq se tipprovdi aġġornamenti kull sena dwar kwalunkwe informazzjoni ġdida li tikkonċerna s-sigurtà u l-effikaċja ta' Nulibry. Barra minn hekk, il-kumpanija se twettaq u tissottometti r-riżultati ta' studju ta' pazjenti b'MoCD tat-tip A kkurati b'Nulibry fil-prattika klinika biex jiġu kkaratterizzati aktar is-sigurtà u l-effikaċja fit-tul tal-mediċina.

## **X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Nulibry?**

Il-kumpanija li tqiegħed Nulibry fis-suq se tipprovdi materjal edukattiv lill-professjonisti kollha fil-qasam tal-kura tas-saħħa li huma mistennija jippreskrivu Nulibry, li għandu jiġi kondiviz mal-pazjenti jew ma' persuni li jindukraw it-tfal li huma mistennija jużaw Nulibry fid-dar. Il-materjal ser jinkludi struzzjonijiet dwar kif tintuża l-mediċina u djarju tal-infuzjoni.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inkluzi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Nulibry.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Nulibry hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati b'Nulibry huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tiproteġi lill-pazjenti.

## **Informazzjoni oħra dwar Nulibry**

Aktar informazzjoni dwar Nulibry tinstab fuq is-sit web tal-Aġenzija:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nulibry](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nulibry).