



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nulibry (*fosdenopterin*)

Een overzicht van Nulibry en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Nulibry en wanneer wordt het voorgeschreven?

Nulibry is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van patiënten met molybdeencofactordeficiëntie (MoCD) type A.

MoCD type A is een erfelijke ziekte waarbij patiënten een tekort hebben aan de zogenoemde molybdeencofactor, een molecuul dat nodig is voor de productie van bepaalde enzymen. Zonder deze enzymen hoopt de toxische chemische stof sulfiet zich op in de hersenen, met hersenschade als gevolg.

Bij deze vorm van MoCD (type A) is het gebrek aan molybdeencofactor het gevolg van het feit dat patiënten een tekort hebben aan de stof cyclisch pyranopterinemonofosfaat (cPMP), die het lichaam nodig heeft om molybdeencofactor aan te maken.

MoCD type A is zeldzaam, en Nulibry werd op 20 september 2010 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u [hier](#).

Nulibry bevat de werkzame stof fosdenopterin.

Hoe wordt Nulibry gebruikt?

Nulibry is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar. De behandeling met Nulibry moet worden gestart door en plaatsvinden onder toezicht van een professionele zorgverlener die ervaring heeft met de behandeling van erfelijke stofwisselingsstoornissen.

Nulibry wordt eenmaal daags via infusie (indruppeling) in een ader toegediend. De aanbevolen dosis is 0,90 mg per kilogram lichaamsgewicht. Voor patiënten jonger dan één jaar wordt een lagere aanvangsdosis en een titratieschema aanbevolen. De aanvangsdosis en het titratieschema hangen af van de zwangerschapsleeftijd bij de geboorte. De behandeling moet levenslang worden voortgezet als de aandoening door genetische tests wordt bevestigd.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Nulibry.

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



Hoe werkt Nulibry?

De werkzame stof in Nulibry, fosdenopterin, is een synthetische vorm van cPMP. Patiënten met MoCD type A hebben een tekort aan cPMP, en het geneesmiddel werkt door deze stof te vervangen. Het lichaam gebruikt deze stof om molybdeencofactor te produceren, waarmee het vervolgens molybdeen bevattende enzymen kan gaan produceren die helpen om de sulfietspiegel in de hersenen te verlagen.

Welke voordelen bleek Nulibry tijdens de studies te hebben?

De voordelen van Nulibry werden onderzocht in vijf hoofdstudies waarbij in totaal 52 patiënten met MoCD type A betrokken waren. In de studies werd gekeken naar het effect van Nulibry op de overleving na één jaar behandeling. De resultaten bij de 15 met Nulibry behandelde patiënten werden vergeleken met historische gegevens uit twee studies onder 37 patiënten die noch Nulibry noch een andere behandeling kregen. Na één jaar was ongeveer 93 % van de patiënten die Nulibry gebruikten nog in leven, tegenover ongeveer 75 % van degenen die geen behandeling kregen. De studies wezen er ook op dat vroegtijdige behandeling met Nulibry (d.w.z. voordat patiënten ernstige hersenschade oplopen) het behoud van het vermogen om voedsel via de mond in te nemen alsook de groei en ontwikkeling van motorische (beweging) en cognitieve (mentale) functies bevordert.

Welke risico's houdt het gebruik van Nulibry in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Nulibry (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn complicaties in verband met de katheter (buisje) met behulp waarvan het geneesmiddel wordt toegediend.

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Nulibry.

Waarom is Nulibry geregistreerd in de EU?

Ondanks het feit dat de studies van geringe omvang waren, aangezien MoCD type A een zeer zeldzame aandoening is, werd aangetoond dat Nulibry werkzaam is bij het verbeteren van de overleving van patiënten met MoCD type A. Tevens wijzen de studies erop dat een vroegtijdige behandeling met Nulibry de levenskwaliteit van patiënten verbetert en de ziekteprogressie vertraagt. De tot dusver waargenomen bijwerkingen worden als beheersbaar beschouwd. Gezien de ernst van de aandoening en het gebrek aan bestaande behandelingen heeft het Europees Geneesmiddelenbureau geconcludeerd dat de voordelen van Nulibry groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Nulibry is goedgekeurd onder 'uitzonderlijke omstandigheden'. Dit betekent dat het wegens de zeldzaamheid van de aandoening niet mogelijk was volledige informatie over Nulibry te verkrijgen. Het Bureau zal jaarlijks eventuele nieuw beschikbare informatie beoordelen en dit overzicht zo nodig laten bijwerken.

Welke informatie wordt nog verwacht voor Nulibry?

Aangezien aan Nulibry registratie onder uitzonderlijke omstandigheden is verleend, zal het bedrijf dat Nulibry in de handel brengt jaarlijks updates verstrekken over eventuele nieuwe informatie over de veiligheid en werkzaamheid van Nulibry. Daarnaast zal het bedrijf een studie uitvoeren onder patiënten met MoCD type A die in de klinische praktijk met Nulibry worden behandeld, en de resultaten hiervan indienen om de veiligheid en werkzaamheid van het geneesmiddel op lange termijn verder te bepalen.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Nulibry te waarborgen?

Het bedrijf dat Nulibry in de handel brengt, zal alle professionele zorgverleners die Nulibry naar verwachting gaan voorschrijven voorzien van voorlichtingsmateriaal dat moet worden gedeeld met patiënten of verzorgers die Nulibry naar verwachting thuis gaan gebruiken. Het materiaal zal instructies bevatten over het gebruik van het geneesmiddel en een infusiedagboek.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Nulibry, zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Nulibry continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Nulibry worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Nulibry

Meer informatie over Nulibry is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nulibry.