



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nulibry (*fosdenopterina*)

Um resumo sobre Nulibry e porque está autorizado na UE

O que é Nulibry e para que é utilizado?

Nulibry é um medicamento utilizado no tratamento de doentes com deficiência de cofator de molibdénio (MoCD) de tipo A.

MoCD de tipo A é uma doença hereditária na qual os doentes não têm em quantidade suficiente uma substância denominada «cofator de molibdénio», uma molécula necessária para a produção de determinadas enzimas. Sem estas enzimas, a substância química tóxica sulfito acumula-se no cérebro, causando lesões cerebrais.

Na forma «tipo A» da doença, a ausência de cofator de molibdénio deve-se à falta de uma substância denominada piranopterina cíclica monofosfato (cPMP), necessária para o organismo produzir cofator de molibdénio.

MoCD de tipo A é uma doença rara, e Nulibry foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) a 20 de setembro de 2010. Mais informações sobre a designação órfã podem ser encontradas [aqui](#).

Nulibry contém a substância ativa fosdenopterina.

Como se utiliza Nulibry?

Nulibry só pode ser obtido mediante receita médica. O tratamento com Nulibry deve ser iniciado e supervisionado por um profissional de saúde com experiência na gestão de doenças metabólicas hereditárias.

Nulibry é administrado por perfusão (administração gota a gota) numa veia, uma vez por dia. A dose recomendada é de 0,90 mg por quilograma de peso corporal. Para doentes com menos de um ano de idade, recomenda-se uma dose inicial mais baixa e um calendário de ajuste da dose. A dose inicial e o calendário de ajuste dependem da idade gestacional à nascença. O tratamento deve ser continuado durante toda a vida se a doença for confirmada por testes genéticos.

Para mais informações sobre a utilização de Nulibry, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.



Como funciona Nulibry?

A substância ativa de Nulibry, a fosdenopterina, é uma forma sintética de cPMP. Uma vez que os doentes com MoCD de tipo A não têm cPMP suficiente, o medicamento atua substituindo esta substância. O organismo utiliza então esta substância para produzir cofator de molibdénio, permitindo que comece a produzir enzimas dependentes de molibdénio e reduzindo os níveis de sulfito no cérebro.

Quais os benefícios demonstrados por Nulibry durante os estudos?

Os benefícios de Nulibry foram estudados em cinco estudos principais que incluíram um total de 52 doentes com MoCD de tipo A. Os estudos analisaram o efeito de Nulibry na sobrevivência após um ano de tratamento. Os resultados nos 15 doentes tratados com Nulibry foram comparados com dados históricos de dois estudos que incluíram 37 doentes que não receberam Nulibry nem nenhum outro tratamento. Após um ano, cerca de 93 % dos doentes que utilizaram Nulibry encontravam-se vivos, em comparação com cerca de 75 % dos que não receberam nenhum tratamento. Os estudos também indicaram que o tratamento precoce com Nulibry (ou seja, antes de os doentes desenvolverem lesões cerebrais graves) preserva a capacidade de tomar alimentos por via oral e melhora o crescimento e o desenvolvimento das funções motoras (movimento) e cognitivas (mentais).

Quais são os riscos associados a Nulibry?

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Nulibry (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) são complicações associadas ao cateter (tubo) que administra o medicamento.

Para a lista completa dos efeitos secundários e das restrições de utilização de Nulibry, consulte o Folheto Informativo.

Porque está Nulibry autorizado na UE?

Sendo MoCD de tipo A uma doença muito rara, os estudos foram pequenos, mas Nulibry demonstrou ser eficaz na melhoria da sobrevivência dos doentes com MoCD de tipo A. Os estudos também indicam que o tratamento precoce com Nulibry melhora a qualidade de vida dos doentes e atrasa a progressão da doença. Os efeitos secundários observados até à data são considerados controláveis. Dada a gravidade da doença e a ausência de tratamentos, a Agência Europeia de Medicamentos decidiu que os benefícios de Nulibry são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Nulibry foi autorizado em circunstâncias excecionais. Isto significa que não foi possível obter informação completa sobre Nulibry devido à raridade da doença. A Agência procederá, anualmente, à análise de novas informações disponíveis e, se necessário, à atualização do presente resumo.

Que informação ainda se aguarda sobre Nulibry?

Dado que Nulibry foi autorizado em circunstâncias excecionais, a empresa que comercializa Nulibry irá fornecer atualizações anuais sobre novas informações que surjam relativamente à segurança e eficácia de Nulibry. Além disso, a empresa irá realizar e apresentar os resultados de um estudo em doentes com MoCD de tipo A tratados com Nulibry na prática clínica para caracterizar melhor a segurança e a eficácia a longo prazo do medicamento.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Nulibry?

A empresa que comercializa Nulibry irá fornecer material educacional a todos os profissionais de saúde que se prevê que prescrevam Nulibry, o qual deve ser partilhado com os doentes ou os prestadores de cuidados que se prevê que utilizem Nulibry em contexto doméstico. Esse material incluirá instruções sobre como utilizar o medicamento e um diário de perfusão.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Nulibry.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Nulibry são continuamente monitorizados. As suspeitas de efeitos secundários comunicadas com Nulibry são cuidadosamente avaliadas e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Nulibry

Mais informações sobre Nulibry podem ser encontradas no sítio da internet da Agência:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nulibry.