



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nulibry (*fosdenopterină*)

Prezentare generală a Nulibry și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Nulibry și pentru ce se utilizează?

Nulibry este un medicament utilizat pentru tratarea pacienților cu deficit de cofactor de molibden (MoCD) de tip A.

MoCD de tip A este o boală ereditară în care pacienții nu au o cantitate suficientă dintr-o substanță numită „cofactor de molibden”, o moleculă necesară pentru producerea anumitor enzime. Fără aceste enzime, sulfitul chimic toxic se acumulează în creier, cauzând leziuni cerebrale.

În forma „de tip A” a bolii, absența cofactorului de molibden se datorează lipsei la pacienți a unei substanțe numite „piranopterină monofosfat ciclică (cPMP)”, de care organismul are nevoie pentru a produce cofactorul de molibden.

MoCD de tip A este rară, iar Nulibry a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 20 septembrie 2010. Informații suplimentare cu privire la medicamentele desemnate orfane pot fi găsite [aici](#).

Nulibry conține substanța activă fosdenopterină.

Cum se utilizează Nulibry?

Nulibry se poate obține numai pe bază de prescripție medicală. Tratamentul cu Nulibry trebuie inițiat și supravegheat de un cadru medical cu experiență în gestionarea terapeutică a tulburărilor metabolice ereditare.

Nulibry se administrează sub formă de perfuzie intravenoasă (picurare în venă) o dată pe zi. Doza recomandată este de 0,90 mg pe kilogram de greutate corporală. La pacienții cu vârsta sub un an, se recomandă o doză inițială mai mică și o schemă de titrare mai mică. Doza inițială și schema de titrare depind de vârsta gestațională la naștere. Dacă afecțiunea este confirmată prin teste genetice, tratamentul trebuie continuat toată viața.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Nulibry, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.



Cum acționează Nulibry?

Substanța activă din Nulibry, fosdenopterină, este o formă sintetică de cPMP. Deoarece pacienții cu MoCD de tip A nu au suficient cPMP, medicamentul acționează prin înlocuirea acestei substanțe. Organismul utilizează apoi această substanță pentru a produce cofactor de molibden, ceea ce îi permite să înceapă să producă enzime dependente de molibden și să reducă nivelurile de sulfid din creier.

Ce beneficii a prezentat Nulibry pe parcursul studiilor?

Beneficiile Nulibry au fost analizate în cinci studii principale care au cuprins în total 52 de pacienți cu MoCD de tip A. Studiile au analizat efectul Nulibry asupra supraviețuirii după un an de tratament. Rezultatele obținute la cei 15 pacienți tratați cu Nulibry au fost comparate cu datele istorice din două studii care au cuprins 37 de pacienți cărora nu li s-a administrat Nulibry sau alt tratament. După un an, aproximativ 93 % din pacienții care au utilizat Nulibry erau în viață, în comparație cu aproximativ 75 % din cei care nu au primit niciun tratament. Studiile au indicat, de asemenea, că tratamentul precoce cu Nulibry (înainte ca pacienții să aibă leziuni cerebrale majore) păstrează capacitatea de a se hrăni pe cale orală și îmbunătățește creșterea și dezvoltarea funcțiilor motorii (de mișcare) și cognitive (mentale).

Care sunt riscurile asociate cu Nulibry?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Nulibry (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt complicații asociate cateterului (tubului) care eliberează medicamentul.

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Nulibry, citiți prospectul.

De ce a fost autorizat Nulibry în UE?

Deoarece MoCD de tip A este o boală foarte rară, studiile au fost mici, dar Nulibry s-a dovedit eficace în îmbunătățirea supraviețuirii pacienților cu MoCD de tip A. Studiile au indicat, de asemenea, că tratamentul precoce cu Nulibry îmbunătățește calitatea vieții pacienților și întârzie progresia bolii. Reacțiile adverse observate până în prezent sunt considerate gestionabile terapeutic. Date fiind gravitatea afecțiunii și lipsa de tratamente existente, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Nulibry sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Nulibry a fost autorizat în „condiții excepționale”. Aceasta înseamnă că, din cauza rarității bolii, nu s-au putut obține informații complete despre Nulibry. În fiecare an, agenția va analiza informațiile nou apărute, iar această prezentare generală va fi actualizată, după caz.

Ce informații se așteaptă în continuare despre Nulibry?

Având în vedere că Nulibry a fost autorizat în condiții excepționale, compania care comercializează Nulibry va furniza actualizări anuale privind orice informații noi referitoare la siguranța și eficacitatea Nulibry. În plus, compania va desfășura și va prezenta rezultatele unui studiu pe pacienți cu MoCD tip A tratați cu Nulibry în practica clinică pentru a caracteriza suplimentar siguranța și eficacitatea pe termen lung a medicamentului.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Nulibry?

Compania care comercializează Nulibry va furniza materiale educaționale tuturor profesioniștilor din domeniul sănătății care se preconizează că vor prescrie Nulibry, care trebuie puse la dispoziția

pacienților sau a îngrijitorilor care urmează să utilizeze Nulibry la domiciliu. Materialul va include instrucțiuni privind modul de utilizare a medicamentului și un jurnal de perfuzie.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Nulibry, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Nulibry sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Nulibry sunt evaluate cu atenție și sunt luate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Nulibry

Mai multe informații despre Nulibry se pot găsi pe site-ul agenției:

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