



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Nulibry (*fosdenopterin*)

Pregled zdravila Nulibry in zakaj je odobreno v EU

### Kaj je zdravilo Nulibry in za kaj se uporablja?

Nulibry je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje bolnikov s pomanjkanjem molibdenskega kofaktorja (MoCD) tipa A.

Pomanjkanje molibdenskega kofaktorja tipa A je dedna bolezen, pri kateri bolnikom primanjkuje snovi, imenovane „molibdenski kofaktor“, tj. molekule, potrebne za tvorbo določenih encimov. Brez teh encimov se v možganih kopičijo toksični sulfiti, kar povzroča možganske poškodbe.

Pri obliki bolezni tipa A je pomanjkanje molibdenskega kofaktorja posledica pomanjkanja snovi, imenovane ciklični piranopterin monofosfat (cPMP), ki jo telo potrebuje za tvorbo molibdenskega kofaktorja.

Ker je MoCD tipa A redka bolezen, je bilo zdravilo Nulibry 20. septembra 2010 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Več informacij o zdravilih sirotah je na voljo [tukaj](#).

Zdravilo Nulibry vsebuje učinkovino fosdenopterin.

### Kako se zdravilo Nulibry uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Nulibry je le na recept. Zdravljenje z njim lahko uvede in nadzoruje samo zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem dednih presnovnih bolezni.

Zdravilo Nulibry se daje z infundiranjem (kapalno infuzijo) v veno enkrat na dan. Priporočeni odmerek je 0,90 mg na kilogram telesne mase. Pri bolnikih, mlajših od enega leta, se priporoča nižji začetni odmerek in shema titracije. Začetni odmerek in shema titracije sta odvisna od gestacijske starosti ob rojstvu. Če se bolezen potrdi z genetskim testiranjem, je treba zdravljenje nadaljevati celo življenje.

Za več informacij glede uporabe zdravila Nulibry glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

### Kako zdravilo Nulibry deluje?

Učinkovina v zdravilu Nulibry, fosdenopterin, je sintetična oblika beljakovine cPMP. Ker bolniki z MoCD tipa A nimajo dovolj cPMP, zdravilo deluje tako, da nadomesti manjkajočo snov. Telo nato to snov

---

**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



uporablja za proizvodnjo molibdenovega kofaktorja, kar mu omogoča tvorbo encimov, odvisnih od molibdena, in posledično zmanjšanje ravni sulfidov v možganih.

## **Kakšne koristi zdravila Nulibry so se pokazale v študijah?**

Koristi zdravila Nulibry so proučevali v petih glavnih študijah, v katere je bilo vključenih skupno 52 bolnikov z MoCD tipa A. V študijah so proučevali učinek zdravila Nulibry na preživetje po enem letu zdravljenja. Rezultate pri 15 bolnikih, zdravljenih z zdravilom Nulibry, so primerjali s historičnimi podatki iz dveh študij, v kateri je bilo vključenih 37 bolnikov, ki niso prejeli zdravila Nulibry ali katerega koli drugega zdravila. Po enem letu je bilo živih približno 93 % bolnikov, ki so uporabljali zdravilo Nulibry, v primerjavi s 75 % tistih, ki niso prejeli nobenega zdravila. Študiji sta pokazali tudi, da zgodnje zdravljenje z zdravilom Nulibry (tj. preden se pri bolnikih pojavijo večje možganske poškodbe) ohrani sposobnost peroralnega uživanja hrane ter izboljša rast in razvoj motoričnih (gibalnih) in kognitivnih (mentalnih) funkcij.

## **Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Nulibry?**

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Nulibry (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 bolniku od 10) so zapleti, povezani s katetrom (cevko) za dovajanje zdravila.

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Nulibry glejte navodilo za uporabo.

## **Zakaj je bilo zdravilo Nulibry odobreno v EU?**

Ker je MoCD tipa A zelo redka bolezen, so bile študije majhne, vendar se je zdravilo Nulibry izkazalo za učinkovito pri izboljšanju preživetja bolnikov s to boleznijo. Študije so prav tako pokazale, da zgodnje zdravljenje z zdravilom Nulibry izboljša kakovost življenja bolnikov in upočasni napredovanje bolezni. Doslej opaženi neželeni učinki se štejejo za obvladljive. Evropska agencija za zdravila je glede na resnost bolezni in pomanjkanje obstoječih zdravljenj zaključila, da so koristi zdravila Nulibry večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Zdravilo Nulibry je pridobilo dovoljenje za promet „v izjemnih okoliščinah“. To pomeni, da zaradi redkosti bolezni ni bilo mogoče pridobiti vseh podatkov o zdravilu. Agencija bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo, in po potrebi posodobila ta pregled.

## **Katere informacije o zdravilu Nulibry še pričakujemo?**

Ker je zdravilo Nulibry pridobilo dovoljenje za promet v izjemnih okoliščinah, bo podjetje, ki ga trži, vsako leto zagotovilo posodobljene informacije o vseh novih informacijah v zvezi z njegovo varnostjo in učinkovitostjo. Poleg tega bo izvedlo in predložilo rezultate študije pri bolnikih z MoCD tipa A, zdravljenih z zdravilom Nulibry v klinični praksi, v okviru katere bo dodatno ugotavljalo dolgoročno varnost in učinkovitost zdravila.

## **Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Nulibry?**

Podjetje, ki trži zdravilo Nulibry, bo vsem zdravnikom, ki naj bi predpisovali to zdravilo, priskrbelo izobraževalno gradivo, namenjeno bolnikom ali negovalcem, ki naj bi zdravilo uporabljali v domačem okolju. Gradivo bo vključevalo navodila za uporabo zdravila in dnevnik infundiranja.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Nulibry upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Nulibry stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Nulibry, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

## **Druge informacije o zdravilu Nulibry**

Nadaljnje informacije za zdravilo Nulibry so na voljo na spletni strani agencije:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nulibry](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nulibry).