



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nulibry (*fosdenopterin*)

Sammanfattning av Nulibry och varför det är godkänt inom EU

Vad är Nulibry och vad används det för?

Nulibry är ett läkemedel som används för att behandla patienter med brist på molybdenkofaktor (MoCD) typ A.

MoCD typ A är en ärftlig sjukdom som innebär att patienterna inte har tillräckligt med molybdenkofaktor, en substans med en molekyl som behövs för att tillverka vissa enzymer. Utan dessa enzymer ansamlas giftig kemisk sulfid i hjärnan och orsakar hjärnskada.

Vid typ A-varianten av sjukdomen beror avsaknaden av molybdenkofaktor på att patienterna saknar cykliskt pyranopterinmonofosfat (cPMP), en substans som kroppen behöver för att tillverka molybdenkofaktor.

MoCD typ A är sällsynt och Nulibry klassificerades som säriläkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 20 september 2010. Mer information om klassificeringen som säriläkemedel finns [här](#).

Nulibry innehåller den aktiva substansen fosdenopterin.

Hur används Nulibry?

Nulibry är receptbelagt. Behandling med Nulibry ska inledas och övervakas av hälso- och sjukvårdspersonal med erfarenhet av att behandla ärftliga metaboliska sjukdomar.

Nulibry ges som en infusion (dropp) i en ven en gång om dagen. Den rekommenderade dosen är 0,90 mg per kilogram kroppsvikt. För patienter som ännu inte fyllt ett år rekommenderas en lägre startdos och titreringschema. Startdosen och titreringschemat bestäms utifrån gestationsåldern vid födseln. Behandlingen måste fortsätta livet ut om tillståndet bekräftats genom genetisk testning.

För mer information om hur du använder Nulibry, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Nulibry?

Den aktiva substansen i Nulibry, fosdenopterin, är en syntetisk form av cPMP. Läkemedlet verkar genom att ersätta cPMP hos patienter med MoCD typ A, eftersom dessa patienter har brist på denna

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



substans. Kroppen använder sedan substansen för att tillverka molybdenkofaktor, vilket gör det möjligt för den att börja tillverka molybdenberoende enzymer och minska nivåerna av sulfid i hjärnan.

Vilka fördelar med Nulibry har visats i studierna?

Fördelarna med Nulibry har undersökts i 5 huvudstudier på sammanlagt 52 patienter med MoCD typ A. I studierna undersöktes Nulibrys effekt på överlevnaden efter ett års behandling. Resultaten för de 15 patienter som behandlades med Nulibry jämfördes med historiska data från två studier på 37 patienter som varken fick Nulibry eller någon annan behandling. Efter ett år levde omkring 93 procent av de patienter som fick Nulibry, jämfört med omkring 75 procent av dem som inte fick någon behandling. Studierna visade också att tidig behandling med Nulibry (dvs. innan patienterna får omfattande hjärnskador) bevarar förmågan till intag av föda genom munnen samt förbättrar tillväxten och utvecklingen av motorik och kognitiva funktioner.

Vilka är riskerna med Nulibry?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Nulibry (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är komplikationer som orsakas av den kateter (eller sond) som används för att tillföra läkemedlet.

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Nulibry finns i bipacksedeln.

Varför är Nulibry godkänt i EU?

Eftersom MoCD typ A är en mycket sällsynt sjukdom var studierna små, men Nulibry visades vara effektivt när det gäller att förbättra överlevnaden för patienter med MoCD typ A. Studierna visar också att tidig behandling med Nulibry förbättrar patienternas livskvalitet och förlänger den tid det tar innan sjukdomen förvärras. De biverkningar som hittills setts anses vara hanterbara. Med tanke på hur allvarlig sjukdomen är och bristen på befintliga behandlingar fann Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) att fördelarna med Nulibry är större än riskerna och att Nulibry kan godkännas för försäljning i EU.

Nulibry har godkänts enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall". Detta innebär att det inte varit möjligt att få fullständig information om Nulibry eftersom sjukdomen är sällsynt. EMA går varje år igenom all ny information som kan ha kommit fram och uppdaterar denna sammanfattning när det behövs.

Vilken information om Nulibry saknas för närvarande?

Eftersom Nulibry har godkänts enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall" ska företaget som marknadsför Nulibry varje år lämna uppdateringar om all ny information om Nulibrys säkerhet och effekt. Dessutom kommer företaget att genomföra och lämna in resultaten av en studie på patienter med MoCD typ A som behandlats med Nulibry i klinisk praxis, för att ytterligare kartlägga läkemedlets långsiktiga säkerhet och effekt.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Nulibry?

Företaget som marknadsför Nulibry kommer att tillhandahålla utbildningsmaterial till all hälso- och sjukvårdspersonal som förväntas förskriva Nulibry, som ska delas med patienter eller vårdare som förväntas använda Nulibry i hemmet. Materialet kommer att innehålla instruktioner om hur läkemedlet ska användas och en infusionsdagbok.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Nulibry har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Nulibry kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Nulibry utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Nulibry

Mer information om Nulibry finns på EMA:s webbplats: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nulibry.