



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nulibry (*fosdenopteryna*)

Przegląd wiedzy na temat leku Nulibry i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Nulibry i w jakim celu się go stosuje

Lek Nulibry jest lekiem stosowanym w leczeniu pacjentów z niedoborem kofaktora molibdenowego (ang. *molybdenum cofactor deficiency*, MoCD) typu A.

MoCD typu A to choroba dziedziczna, w której w organizmach pacjentów nie występuje wystarczająca ilość substancji o nazwie „kofaktor molibdenowy”, cząsteczki potrzebnej do produkcji niektórych enzymów. Bez tych enzymów toksyczne siarczany chemiczne gromadzą się w mózgu, powodując jego uszkodzenie.

W chorobie „typu A” brak kofaktora molibdenowego jest spowodowany brakiem substancji o nazwie „cykliczny monofosforan pyranopteryny” (ang. *cyclic pyranopterin monophosphate*, cPMP), którą organizm potrzebuje do wytwarzania kofaktora molibdenowego.

Ze względu na to, że MoCD typu A uznano za chorobę rzadko występującą, w dniu 20 września 2010 r. lek Nulibry uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocowego można znaleźć [tutaj](#).

Substancja czynna zawarta w leku Nulibry to fosdenopteryna.

Jak stosować lek Nulibry

Lek wydawany na receptę. Leczenie z zastosowaniem leku Nulibry powinien rozpoczynać i nadzorować pracownik służby zdrowia mający doświadczenie w leczeniu wrodzonych wad metabolizmu.

Lek Nulibry podaje się w infuzji (kroplówce) raz na dobę. Zalecana dawka wynosi 0,90 mg na kilogram masy ciała. U pacjentów w wieku poniżej 1 roku życia zaleca się stosowanie niższej dawki początkowej i harmonogramu zwiększania dawki. Dawka początkowa i harmonogram zwiększania dawki zależą od wieku ciążowego w chwili urodzenia. Leczenie należy kontynuować przez całe życie, jeśli choroba zostanie potwierdzona w badaniach genetycznych.

Więcej informacji o sposobie stosowania Nulibry znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.



Jak działa lek Nulibry

Substancja czynna leku Nulibry, fosdenopteryna, jest syntetyczną postacią cPMP. Ponieważ u pacjentów z MoCD typu A nie występuje wystarczająca ilość cPMP, lek działa przez zastąpienie tej substancji. Organizm wykorzystuje tę substancję do wytwarzania kofaktora molibdenowego, co pozwala mu rozpocząć wytwarzanie enzymów zależnych od molibdenu i zmniejszać stężenie siarczynów w mózgu.

Korzyści ze stosowania leku Nulibry wykazane w badaniach

Korzyści ze stosowania leku Nulibry oceniano w pięciu badaniach głównych z udziałem łącznie 52 pacjentów z MoCD typu A. W badaniach tych oceniano wpływ leku Nulibry na czas przeżycia po roku leczenia. Wyniki dotyczące 15 pacjentów, którym podawano lek Nulibry, porównano z danymi historycznymi z dwóch badań z udziałem 37 pacjentów, którym nie podawano leku Nulibry ani żadnego innego leczenia. Po roku przy życiu pozostawało około 93% pacjentów stosujących lek Nulibry w porównaniu z około 75% pacjentów, którzy nie otrzymywali żadnego leczenia. W badaniach wykazano również, że wczesna terapia lekiem Nulibry (tj. zanim u pacjentów dojdzie do znacznego uszkodzenia mózgu) utrzymuje zdolność do przyjmowania pokarmu doustnie oraz poprawia wzrost i rozwój funkcji motorycznych (ruchowych) i poznawczych (psychicznych).

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Nulibry

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Nulibry (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to powikłania związane z podawaniem leku przez cewnik (rurkę).

Pełny wykaz działań niepożądanych oraz ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Nulibry znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Nulibry w UE

Ze względu na to, że MoCD typu A jest bardzo rzadką chorobą, badania były zakrojone ma niewielką skalę, ale wykazano, że lek Nulibry skutecznie poprawia czas przeżycia pacjentów z MoCD typu A. Z badań również wynika, że wczesne stosowanie leku Nulibry poprawia jakość życia pacjentów i opóźnia postęp choroby. Obserwowane do tej pory działania niepożądane uznaje się za możliwe do kontrolowania. Ze względu na poważny charakter choroby i brak istniejących metod leczenia Europejska Agencja Leków (EMA) uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Nulibry przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Lek Nulibry dopuszczono do obrotu w wyjątkowych okolicznościach. Wynika to z faktu, że nie można było uzyskać pełnych informacji o leku Nulibry z uwagi na rzadkie występowanie choroby. Co roku Agencja dokona przeglądu wszelkich nowych informacji i w razie potrzeby uaktualni niniejsze ogólne informacje.

Jakich informacji jeszcze brakuje na temat leku Nulibry

W związku z tym, że lek Nulibry został dopuszczony do obrotu w wyjątkowych okolicznościach, firma wprowadzająca lek Nulibry do obrotu będzie co roku dostarczać aktualizacje wszelkich nowych informacji dotyczących bezpieczeństwa i skuteczności leku Nulibry. Ponadto firma przeprowadzi i przedłoży wyniki badania z udziałem pacjentów z MoCD typu A, u których stosowany lek Nulibry w praktyce klinicznej, w celu dalszego scharakteryzowania długotrwałego bezpieczeństwa i skuteczności leku.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Nulibry

Firma, która wprowadza lek Nulibry do obrotu, dostarczy materiały edukacyjne wszystkim pracownikom służby zdrowia, którzy będą przepisywać lek; należy je udostępnić pacjentom lub opiekunom, którzy będą stosować lek Nulibry w domu. Materiały będą zawierały instrukcje dotyczące stosowania leku oraz dzienniczek dotyczący wlewów.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Nulibry w Charakterystyce Produktu Leczniczego i Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Nulibry są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane szczepionki Nulibry są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Nulibry

Dalsze informacje na temat leku Nulibry znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nulibry.