



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nulibry (*fosdenopteriini*)

Yleistiedot Nulibrysta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Nulibry on ja mihin sitä käytetään?

Nulibry on lääke, jolla hoidetaan tyypin A molybdeenikofaktorin puutosta (MoCD) sairastavia potilaita.

Tyypin A MoCD on perinnöllinen sairaus, jossa potilailla ei ole tarpeeksi molybdeenikofaktori-nimistä ainetta. Se on eräiden entsyymien tuotantoon tarvittava molekyyli. Ilman kyseisiä entsyymejä aivoihin kertyy myrkyllistä kemikaalia, sulfiittia, mikä aiheuttaa aivovaurioita.

Tyypin A sairaudessa potilailta puuttuu syklinen pyranopteriinimonofosfaatti (cPMP) -niminen aine, jota elimistö tarvitsee valmistakseen molybdeenikofaktoria, minkä seurauksena potilaille aiheutuu molybdeenikofaktorin puutos.

Tyypin A MoCD on harvinainen sairaus, ja Nulibry nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 20. syyskuuta 2010. Lisätietoja harvinaislääkkeistä löytyy [täältä](#).

Nulibryn vaikuttava aine on fosdenopteriini.

Miten Nulibry-valmistetta käytetään?

Nulibrya saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Nulibry-hoidon saa aloittaa vain perinnöllisten aineenvaihduntasairauksien hoitoon perehtynyt terveydenhuollon ammattilainen, jonka on myös valvottava hoitoa.

Nulibry annetaan infusiona (tiputuksena) laskimoon kerran päivässä. Suositeltu annos on 0,90 mg painokiloa kohti. Alle vuoden ikäisille potilaille suositellaan pienempää aloitusannosta ja annoksen suurentamista (titrausta) asteittain. Aloitusannos ja titrausaikataulu määräytyvät sikiöiän mukaan syntymähetkellä. Hoitoa on jatkettava koko eliniän ajan, jos sairaus vahvistetaan geenitestillä.

Lisätietoa Nulibryn käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Nulibry vaikuttaa?

Nulibryn vaikuttava aine fosdenopteriini on cPMP:n synteettinen muoto. Koska tyypin A MoCD-tautia sairastavien potilaiden elimistössä ei ole tarpeeksi cPMP:tä, lääke korvaa puuttuvan aineen. Kun

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



elimistö sitten käyttää fosdenopteriinia molybdeenikofaktorin tuottamiseen, se pystyy aloittamaan molybdeenista riippuvaisten entsyymien tuotannon ja vähentämään sulfiitin määrää aivoissa.

Mitä hyötyä Nulibrystä on havaittu tutkimuksissa?

Nulibryn hyötyä tutkittiin viidessä päätutkimuksessa, joihin osallistui yhteensä 52 tyyppin A MoCD:ta sairastavaa potilasta. Tutkimuksissa tarkasteltiin Nulibryn vaikutusta eloonjääntiin vuoden kestäneen hoidon jälkeen. Nulibrillä hoidettujen 15 potilaan tuloksia verrattiin aiempiin tietoihin kahdesta tutkimuksesta, joihin osallistui 37 potilasta, jotka eivät saaneet Nulibrystä tai mitään muuta hoitoa. Vuoden kuluttua noin 93 prosenttia Nulibry-valmistetta saaneista potilaista oli elossa, kun taas vailla hoitoa olleista potilaista noin 75 prosenttia oli elossa vuotta myöhemmin. Tutkimukset osoittivat myös, että Nulibry-hoito varhain (ennen kuin potilaille kehittyy laajamittainen aivovaurio) säilyttää kyvyn nauttia ruokaa suun kautta ja parantaa kasvua sekä motoristen (liikkumiseen liittyvien) ja kognitiivisten (psykkisten) toimintojen kehitystä.

Mitä riskejä Nulibrystä liittyy?

Nulibryn yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat lääkkeen antamisessa käytettävään katetriin (letkuun) liittyvät komplikaatiot.

Pakkauselosteessa on luettelo kaikista Nulibryn haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Nulibry on hyväksytty EU:ssa?

Koska tyyppin A MoCD on hyvin harvinainen sairaus, tutkimukset olivat pieniä, mutta Nulibryn osoitettiin kuitenkin parantavan tehokkaasti tyyppin A MoCD:tä sairastavien potilaiden eloonjäämistä. Tutkimukset osoittavat myös, että varhainen Nulibry-hoito parantaa potilaiden elämänlaatua ja viivästyttää sairauden etenemistä. Tähän mennessä havaittujen haittavaikutusten katsotaan olevan hallittavissa. Koska sairaus on vakava ja sille ei ole olemassa riittävästi muita hoitovaihtoehtoja, Euroopan lääkevirasto katsoi, että Nulibryn hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Nulibry on saanut myyntiluvan ns. poikkeusolosuhteissa. Tämä johtuu siitä, että sairauden harvinaisuuden vuoksi Nulibrystä ei ole ollut mahdollista saada täydellisiä tietoja. Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä katsausta päivitetään tarvittaessa.

Mitä tietoja Nulibrystä odotetaan vielä saatavan?

Koska Nulibry on saanut myyntiluvan poikkeusolosuhteissa, sitä markkinoiva yhtiö toimittaa vuosittain päivitettyt tiedot kaikista uusista tiedoista, jotka koskevat Nulibryn turvallisuutta ja tehoa. Lisäksi yhtiö tekee tutkimuksen, jossa on mukana Nulibrillä hoidettuja tyyppin A MoCD:ta sairastavia potilaita, ja toimittaa sen tulokset virastolle. Tutkimuksen tarkoituksena on luonnehtia tarkemmin lääkkeen pitkäaikaista turvallisuutta ja tehoa.

Miten voidaan varmistaa Nulibryn turvallinen ja tehokas käyttö?

Nulibry-valmistetta markkinoiva yhtiö toimittaa perehdytysmateriaalia kaikille terveydenhuollon ammattilaisille, joiden odotetaan määrävän lääkettä potilaille. Materiaalia on jaettava myös niille potilaille tai hoitajille, joiden on tarkoitus käyttää Nulibrystä potilaan kotona. Materiaali sisältää ohjeet lääkkeen käytöstä ja infuusiopäiväkirjan.

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Nulibryn käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvedon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Nulibryn käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Nulibrystä ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Nulibrystä

Lisää tietoa Nulibrystä on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nulibry