



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/285195/2017  
EMA/H/C/004065

## Резюме на EPAR за обществено ползване

---

### Brineura

#### Церлипоназа алфа

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Brineura. В него се разяснява как Агенцията е оценила лекарството, за да препоръча разрешаване за употреба в ЕС и условия на употреба. Документът не е предназначен да предоставя практически съвети относно употребата на Brineura.

За практическа информация относно употребата на Brineura пациентите следва да прочетат листовката или да попитат своя лекар или фармацевт.

#### Какво представлява Brineura и за какво се използва?

Brineura е лекарство за лечение на невронални цероидни липофусцинози тип 2 (CLN2 болест), наследствено заболяване при деца, което води до прогресивно увреждане на мозъка.

Тъй като броят на пациентите с CLN2 е малък, болестта се счита за „рядка“ и Brineura е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки болести) на 13 март 2013 г.

Brineura съдържа активното вещество церлипоназа алфа (*cerliponase alfa*).

#### Как се използва Brineura?

Brineura се влива директно в мозъка. Преди първото вливане пациентът трябва да претърпи хирургична интервенция за имплантиране на устройство, което се прокарва от външната страна на черепа до мозъчната кухина с течност, в която се доставя лекарството.

Вливанията се прилагат веднъж на всеки две седмици от медицински специалист, който има познания за прилагане на лекарства в мозъка. За да се намали рискът от реакции, свързани с вливането, пациентите могат да приемат други лекарства преди или по време на лечението с Brineura или времето на вливането може да бъде забавено. Лечението може да продължи дотогава, докато пациентът се повлиява положително.



Brineura се отпуска по лекарско предписание. За повече информация вижте листовката.

## Как действа Brineura?

При пациентите с CLN2 липсва един ензим, който е необходим за нормалното развитие на мозъка, наречен трипептидил пептидаза 1 (TPP1). Активното вещество в Brineura, церлипоназа алфа, е копие на TPP1 и се използва за замяна на липсващия ензим.

Лекарството се влива директно в мозъка, за да заобиколи кръвно-мозъчната бариера, предпазна бариера, която разделя кръвния поток от мозъка и предотвратява навлизането на вещества от рода на лекарства в мозъчната тъкан.

## Какви ползи от Brineura са установени в проучванията?

В ранни проучвания Brineura показва, че намалява скоростта на влошаване на заболяването, измерена със стандартна скала за оценка.

В едно проучване, в което 23 деца (на средна възраст 4 години) са лекувани с Brineura в продължение на близо година, 20 от тях (87%) не претърпяват намаляване с 2 точки на двигателните и езиковите умения, каквото се наблюдава от историческа гледна точка при пациенти, които не получават лечение.

Оценката е извършена от лекари, които дават на пациентите индивидуални оценки за двигателните и езиковите умения (където 0 означава най-лоша, а 3 е нормална оценка). Общата оценка на пациента е сборът на двете оценки.

В едно проследяващо проучване ползите от Brineura продължават още една година, като резултатите показват, че заболяването може да бъде забавено при по-голямата част от пациентите. Това проучване все още продължава.

## Какви са рисковете, свързани с Brineura?

Най-честите нежелани лекарствени реакции при Brineura (които могат да засегнат повече от 1 на 5 души) са треска, ниски нива на протеин в ГМТ (течността в мозъка и гръбнака), аномалии в ЕКГ (проверка на сърдечната дейност), повръщане, инфекции на горните дихателни пътища (инфекции на носа и гърлото) и реакции на свръхчувствителност (алергични реакции). За пълния списък на всички нежелани лекарствени реакции, съобщени при Brineura, вижте листовката.

Brineura не трябва да се прилага при пациенти, които изпитват животозастрашаващи реакции на свръхчувствителност (алергия) към Brineura, симптомите на които се появяват отново при повторно прилагане на Brineura. Освен това не трябва да се прилага и при пациенти, които имат имплантиран шънт за дрениране на излишна течност от мозъка. И накрая, Brineura не трябва да се прилага при пациенти, които имат някакви проблеми с устройството, като изтичане или инфекция.

## Защо Brineura е разрешен за употреба?

Наличните данни показват, че Brineura помага за забавянето на двигателните и езиковите умения при пациенти с CLN2, заболяване, за което няма други лечения.

Данните не показват никакви неприемливи притеснения по отношение на безопасността. Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) на Агенцията реши, че ползите от Brineura са по-големи от рисковете, и препоръча Brineura да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Brineura е разрешен за употреба при „извънредни обстоятелства“. Това се дължи на факта, че поради рядкото разпространение на болестта не е било възможно да се получи пълна информация за Brineura. Всяка година Европейската агенция по лекарствата ще извършва преглед на новата информация и настоящото резюме съответно ще се актуализира.

### **Каква информация се очаква за Brineura?**

Тъй като Brineura е разрешен за употреба при „извънредни обстоятелства“, фирмата, която го предлага на пазара, ще предостави допълнителни данни от проучванията за безопасността на Brineura, включително за риска от алергични реакции при дългосрочна употреба и за неговата дългосрочна ефективност за забавяне или спиране на влошаването на двигателните и езиковите умения. Проучванията ще включват деца на възраст под 2 години, за които понастоящем липсват данни.

### **Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Brineura?**

Фирмата, която предлага на пазара Brineura, ще гарантира, че на всички медицински специалисти, които се очаква да използват това лекарство, е предоставен образователен материал за начина на използването му и предотвратяването на проблеми с устройството от рода на инфекции или блокиране.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Brineura, които да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

### **Допълнителна информация за Brineura**

Пълният текст на EPAR за Brineura може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). За повече информация относно лечението с Brineura прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте Вашия лекар или фармацевт.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци за Brineura може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).