



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

Brineura

cerliponasum alfa

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Brineura. Objasňuje, jakým způsobem agentura vyhodnotila tento přípravek, aby mohla doporučit vydání rozhodnutí o registraci přípravku v EU a podmínky jeho používání. Účelem tohoto dokumentu není poskytnout praktické rady o tom, jak přípravek Brineura používat.

Pokud jde o praktické informace o používání přípravku Brineura, pacienti by si měli přečíst příbalovou informaci nebo se obrátit na svého lékaře či lékárníka.

Co je Brineura a k čemu se používá?

Brineura je léčivý přípravek určený k léčbě neuronální ceroidní lipofuscinózy typu 2 (onemocnění CLN2), což je dědičné onemocnění u dětí, které vede k progresivnímu poškození mozku.

Jelikož počet pacientů s CLN2 je nízký, toto onemocnění se považuje za zřídka se vyskytující a přípravek Brineura byl dne 13. března 2013 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.

Přípravek Brineura obsahuje léčivou látku cerliponasa alfa.

Jak se přípravek Brineura používá?

Přípravek Brineura se podává infuzí přímo do mozku. Před první infuzí musí pacient podstoupit operaci, při které se implantuje zařízení, které vede z vnější strany lebky do dutiny s tekutinou v mozku, kam se přípravek podává.

Infuze jsou podávány jednou za dva týdny zdravotníkem, který má zkušenosti s podáváním léčivých přípravků do mozku. Za účelem snížení rizika reakcí spojených s infuzí je možno pacientům před léčbou přípravkem Brineura nebo během ní podat další léčivé přípravky nebo je možno průběh infuze zpomalit. Léčba pokračuje tak dlouho, dokud je pro pacienta přínosná.

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 **Facsimile** +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Podrobné informace jsou uvedeny v příbalové informaci.

Jak přípravek Brineura působí?

Pacienti s CLN2 nemají enzym zvaný tripeptidylpeptidáza 1 (TPP1), který je nezbytný pro normální vývoj mozku. Léčivá látka přípravku Brineura, cerliponasa alfa, je kopií TPP1 a používá se k nahrazení chybějícího enzymu.

Léčivý přípravek se podává infuzí přímo do mozku, aby se obešla hematoencefalická bariéra, což je ochranná bariéra, která odděluje krevní oběh od mozku a zabraňuje pronikání látek, jako jsou léčivé látky, do mozkové tkáně.

Jaké přínosy přípravku Brineura byly prokázány v průběhu studií?

V původních studiích bylo prokázáno, že přípravek Brineura na základě měření standardní stupnicí snižuje rychlost zhoršování onemocnění.

Ve studii, ve které bylo téměř rok léčeno přípravkem Brineura 23 dětí (průměrný věk 4 roky), nebyl u 20 z nich (87 %) zaznamenán 2bodový pokles v pohybových a jazykových dovednostech pozorovaný v minulosti u neléčených pacientů.

Hodnocení provedli lékaři, kteří pacientům přiřadili individuální skóre pro pohybové a jazykové dovednosti (kde 0 znamená nejzávažnější a 3 normální). Konečné skóre pacienta bylo součtem obou hodnot skóre.

V následné studii přetrvávaly přínosy přípravku Brineura po dobu dalšího roku, přičemž z výsledků vyplývalo, že onemocnění bylo možné oddálit u většiny pacientů. Tato studie dosud probíhá.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Brineura?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Brineura (které mohou postihnout více než 1 osobu z 5) jsou horečka, nízké hladiny bílkoviny v mozkomíšním moku (tekutině v mozku a míše), abnormality na EKG (vyšetření srdeční činnosti), zvracení, infekce horních cest dýchacích (infekce nosu a hrdla) a (alergické) reakce přecitlivělosti. Úplný seznam nežádoucích účinků hlášených v souvislosti s přípravkem Brineura je uveden v příbalové informaci.

Přípravek Brineura se nesmí podávat pacientům, u kterých se v souvislosti s podáním přípravku Brineura vyskytly život ohrožující (alergické) reakce přecitlivělosti a jejichž příznaky se po podání přípravku Brineura znovu objevily. Rovněž se nesmí podávat u pacientů, kteří mají implantované zařízení k odvádění přebytečné tekutiny z mozku. Přípravek Brineura nesmí být rovněž podáván u pacientů, kteří mají problémy se zařízením, jako jsou netěsnosti nebo infekce.

Na základě čeho byl přípravek Brineura schválen?

Z dostupných údajů vyplývá, že přípravek Brineura zpomaluje pokles pohybových a jazykových dovedností u pacientů s CLN2, což je onemocnění, pro které není k dispozici žádná jiná léčba.

S ohledem na bezpečnost nevyplývají z údajů žádné nepřijatelné obavy. Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) agentury proto dospěl k závěru, že přínosy přípravku Brineura převyšují jeho rizika, a proto doporučil, aby byl schválen k použití v EU.

Přípravek Brineura byl registrován za „výjimečných okolností“, neboť vzhledem ke vzácné povaze tohoto onemocnění nebylo možné o přípravku Brineura získat úplné informace. Evropská agentura pro léčivé přípravky každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace a tento souhrn bude podle potřeby aktualizován.

Jaké informace o přípravku Brineura nebyly dosud předloženy?

Jelikož přípravek Brineura byl schválen za výjimečných okolností, společnost, která přípravek Brineura dodává na trh, předloží další údaje ze studií bezpečnosti tohoto přípravku, včetně rizika výskytu alergických reakcí v souvislosti s dlouhodobým užíváním, a údaje o jeho dlouhodobé účinnosti z hlediska oddálení nebo zastavení zhoršování pohybových a jazykových dovedností. Studie budou zahrnovat děti do 2 let věku, pro které v současné době nejsou k dispozici žádné údaje.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Brineura?

Společnost, která přípravek Brineura dodává na trh, zajistí, aby všichni zdravotníci, u kterých se očekává, že budou tento léčivý přípravek používat, obdrželi školicí materiál o tom, jak přípravek používat a jak se vyvarovat problémům se zařízením, jako je infekce nebo zablokování.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Brineura, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Další informace o přípravku Brineura

Plné znění zprávy EPAR pro přípravek Brineura je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Další informace o léčbě přípravkem Brineura naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Shrnutí stanoviska k přípravku Brineura vydaného Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).