



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## **EPAR – sammendrag for offentligheden**

---

# Brineura

## cerliponase alfa

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Brineura. Det forklarer, hvordan agenturet vurderede lægemidlet for at kunne anbefale udstedelse af en markedsføringstilladelse i EU og fastlægge anvendelsesbetingelserne. Det er ikke en praktisk vejledning i, hvordan Brineura bør anvendes.

Hvis du ønsker praktisk vejledning om anvendelsen af Brineura, kan du læse indlægssedlen eller kontakte din læge eller dit apotek.

### **Hvad er Brineura, og hvad anvendes det til?**

Brineura er et lægemiddel til behandling af neuronal ceroid lipofuscinose type 2 (CLN2-sygdom), som er en arvelig sygdom, der hos børn fører til fremadskridende hjerneskade.

Da antallet af patienter med CLN2 er lavt, betragtes sygdommen som "sjælden", og Brineura blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 13. marts 2013.

Brineura indeholder det aktive stof cerliponase alfa.

### **Hvordan anvendes Brineura?**

Brineura gives som infusion direkte i hjernen. Før den første infusion skal patienten have indopereret en enhed, der fra ydersiden af kraniet fører til det væskefyldte hulrum i hjernen, hvor lægemidlet tilføres.

Infusionerne gives en gang hver anden uge af en sundhedsperson, der er kyndig i at indgive medicin i hjernen. For at mindske risikoen for infusionsbetingede reaktioner kan patienten få andre lægemidler før eller efter behandlingen med Brineura, eller infusionen kan gives langsommere. Behandlingen kan fortsætte, så længe det er til fordel for patienten.



Lægemidlet Brineura udleveres kun efter recept. De nærmere oplysninger fremgår af indlægssedlen.

## Hvordan virker Brineura?

Patienter med CLN2 mangler enzymet tripeptidylpeptidase-1 (TPP1), der er nødvendigt for hjernens normale udvikling. Det aktive stof i Brineura, cerliponase alfa, er en kopi af TPP1 og anvendes som erstatning for det manglende enzym.

Lægemidlet gives som infusion direkte i hjernen for at omgå den beskyttende blod-hjernebarriere, som adskiller blodbanen fra hjernen og forhindrer stoffer såsom lægemidler i at komme ind i hjernevævet.

## Hvilke fordele viser undersøgelserne, at der er ved Brineura?

Tidlige undersøgelser har vist, at Brineura nedsætter den hastighed, som sygdommen forværres med, målt på en standardskala.

I en undersøgelse, hvor 23 børn (gennemsnitsalder 4 år) blev behandlet med Brineura i næsten et år, fik 20 af dem (87 %) ikke den forringelse på 2 point i motoriske og sproglige færdigheder, som tidligere er set hos patienter, der ikke får behandling.

Vurderingen blev foretaget af læger, som tildelte patienterne individuelle scoreværdier for motoriske og sproglige færdigheder (hvor 0 er sværest og 3 er normalt). Slutscoreværdien for en patient var de to scoreværdier lagt sammen.

I en opfølgende undersøgelse vedvarede fordelene ved Brineura i endnu et år, og resultaterne viste, at sygdommen kunne forsinkes hos størstedelen af patienterne. Undersøgelsen er stadig i gang.

## Hvilke risici er der forbundet med Brineura?

De hyppigste bivirkninger med Brineura (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 5 personer) er feber, lavt proteinindhold i væsken i hjernen og rygmarven (cerebrospinalvæsken), abnormt EKG (undersøgelse af hjertets aktivitet), opkastning, næse- og halsinfektioner (øvre luftvejsinfektioner) og overfølsomhedsreaktioner (allergiske reaktioner). Den fuldstændige liste over indberettede bivirkninger ved Brineura fremgår af indlægssedlen.

Brineura må ikke gives til patienter, der har haft livstruende overfølsomhedsreaktioner (allergiske reaktioner) i forbindelse med Brineura, og hos hvem symptomerne kom igen, når patienterne fik Brineura igen. Det må heller ikke gives til patienter, der har fået indopereret et dræn til at fjerne overskydende væske fra hjernen. Endelig må patienten ikke få Brineura, når der er problemer med den indopererede enhed såsom utæthed eller infektion.

## Hvorfor blev Brineura godkendt?

De foreliggende data viser, at Brineura bremser forringelsen af motoriske og sproglige færdigheder hos patienter med CLN2, som er en sygdom uden andre behandlingsmuligheder.

Hvad sikkerheden angår, viste dataene ingen uacceptable problemer. Agenturets Udvalg for Lægemidler til Mennesker (CHMP) konkluderede, at fordelene ved Brineura opvejer risiciene, og anbefalede, at det godkendes til anvendelse i EU.

Brineura er godkendt under "særlige omstændigheder". Det skyldes, at det ikke har været muligt at indhente fyldestgørende oplysninger om Brineura, fordi sygdommen er sjælden. Hvert år gennemgår Det Europæiske Lægemiddelagentur alle nye oplysninger, der måtte foreligge, og ajourfører om nødvendigt dette sammendrag.

## Hvilke oplysninger afventes der stadig for Brineura?

Eftersom Brineura er blevet godkendt under ekstraordinære omstændigheder, skal virksomheden, der markedsfører det, fremlægge yderligere data fra undersøgelser om sikkerheden af Brineura, herunder risikoen for allergiske reaktioner ved længere tids anvendelse, og om dets effektivitet på længere sigt mht. at bremse eller standse forringelsen af motoriske og sproglige færdigheder. Undersøgelserne vil omfatte børn over to år, som der på nuværende tidspunkt ikke findes data om.

## Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Brineura?

Virksomheden, der markedsfører Brineura, skal sikre, at alle sundhedspersoner, der forventes at bruge dette lægemiddel, forsynes med oplysningsmateriale om, hvordan de skal bruge det, og hvordan de skal undgå problemer med enheden såsom infektion eller tilstopning.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Brineura.

## Andre oplysninger om Brineura

Den fuldstændige EPAR for Brineura findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Brineura, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme om Brineura findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).