



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

Brineura

Cerliponase alfa

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Brineura. Hierin wird erläutert, wie die Agentur das Arzneimittel beurteilt hat, um zu ihren Empfehlungen für die Zulassung des Arzneimittels in der EU und die Anwendungsbedingungen zu gelangen. Diese Zusammenfassung ist nicht als praktischer Rat zur Anwendung von Brineura zu verstehen.

Wenn Sie als Patient praktische Informationen über Brineura benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Was ist Brineura und wofür wird es angewendet?

Brineura ist ein Arzneimittel zur Behandlung der neuronalen Ceroid-Lipofuszinose Typ 2 (CLN2), einer Erbkrankheit bei Kindern, die zu einem fortschreitenden Hirnschaden führt.

Da es nur wenige Patienten mit CLN2 gibt, gilt die Krankheit als selten, und Brineura wurde am 13. März 2013 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen.

Brineura enthält den Wirkstoff Cerliponase alfa.

Wie wird Brineura angewendet?

Brineura wird direkt in das Gehirn infundiert. Vor der ersten Infusion muss sich der Patient einer Operation zur Implantation einer Vorrichtung unterziehen, die von außen durch den Schädel zum Liquorraum im Gehirn führt, wo das Arzneimittel verabreicht wird.

Die Infusionen werden einmal alle zwei Wochen von medizinischem Fachpersonal mit Kenntnissen in der Verabreichung von Arzneimitteln im Gehirn verabreicht. Um das Risiko infusionsbedingter Reaktionen zu verringern, können den Patienten vor oder während der Behandlung mit Brineura weitere Arzneimittel gegeben werden oder die Infusion kann langsamer durchgeführt werden. Die Behandlung kann so lange fortgesetzt werden, wie der Patient daraus therapeutischen Nutzen zieht.

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



Brineura ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich. Nähere Informationen sind der Packungsbeilage zu entnehmen.

Wie wirkt Brineura?

Patienten mit CLN2 fehlt es an einem Enzym, der sogenannten Tripeptidyl-Peptidase 1 (TPP1), die für eine normale Entwicklung des Gehirns erforderlich ist. Der Wirkstoff von Brineura, Cerliponase alfa, ist eine Kopie von TPP1 und dient als Ersatz für das fehlende Enzym.

Das Arzneimittel wird direkt in das Gehirn infundiert, um die Blut-Hirn-Schranke zu überwinden. Hierbei handelt es sich um eine Schutzschranke, die den Blutkreislauf vom Gehirn trennt und verhindert, dass Stoffe, wie etwa Arzneimittel, in das Hirngewebe eintreten.

Welchen Nutzen hat Brineura in den Studien gezeigt?

Frühe Studien zeigten, dass Brineura die Geschwindigkeit, mit der die Krankheit fortschreitet (gemessen anhand einer Standardbewertungsskala), senkt.

In einer Studie, in der 23 Kinder (Durchschnittsalter 4 Jahre) fast ein Jahr lang mit Brineura behandelt wurden, erlitten 20 von ihnen (87 %) nicht den historisch bei unbehandelten Patienten beobachteten Rückgang um 2 Punkte in der Beweglichkeit und den Sprachfähigkeiten.

Die Bewertung wurde von Ärzten vorgenommen, die Patienten individuelle Werte für Beweglichkeit und Sprachfähigkeiten gaben (0 stand für besonders schwer beeinträchtigt und 3 für normal). Der Endwert der Patienten war die Summe der zwei Werte.

In einer Nachbeobachtungsstudie zu Brineura hielt der Nutzen ein weiteres Jahr an, wobei die Ergebnisse zeigten, dass das Fortschreiten der Krankheit bei den meisten Patienten verlangsamt werden konnte. Die Studie läuft derzeit noch.

Welche Risiken sind mit Brineura verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Brineura (die mehr als 1 von 5 Personen betreffen können,) sind Fieber, niedrige Proteinspiegel im Liquor (die Flüssigkeit im Gehirn und Rückenmark), Anomalien im EKG (eine Untersuchung der Herzaktivität), Erbrechen, Infektionen der oberen Atemwege (Nasen- und Halsinfektionen) und Überempfindlichkeitsreaktionen (allergische Reaktionen). Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Brineura berichteten Nebenwirkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Brineura darf nicht bei Patienten angewendet werden, die lebensbedrohliche Überempfindlichkeitsreaktionen (allergische Reaktionen) im Zusammenhang mit Brineura erlitten haben und deren Symptome bei wiederholter Verabreichung von Brineura erneut auftraten. Es darf auch nicht bei Patienten angewendet werden, denen zur Drainage überschüssiger Flüssigkeit aus dem Gehirn ein Shunt implantiert wurde. Außerdem darf den Patienten Brineura auch nicht verabreicht werden, wenn Probleme mit der Zugangsvorrichtung bestehen, wie etwa Leckagen oder Infektionen.

Warum wurde Brineura zugelassen?

Die verfügbaren Daten zeigen, dass Brineura hilft, den Rückgang bei der Beweglichkeit und den Sprachfähigkeiten bei Patienten mit CLN2, einer Krankheit, für die es keine anderen Behandlungen gibt, zu verlangsamen.

In Bezug auf die Sicherheit lässt sich feststellen, dass die Daten keine inakzeptablen Bedenken aufkommen lassen. Der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Agentur gelangte daher zu dem

Schluss, dass der Nutzen von Brineura gegenüber den Risiken überwiegt, und empfahl, es für die Anwendung in der EU zuzulassen.

Brineura wurde unter „außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass es aufgrund der Seltenheit der Krankheit nicht möglich war, vollständige Informationen über Brineura zu erlangen. Die Europäische Arzneimittel-Agentur (EMA) wird jedes Jahr sämtliche neuen Informationen prüfen, die verfügbar werden, und die vorliegende Zusammenfassung wird gegebenenfalls aktualisiert.

Welche Informationen werden für Brineura noch erwartet?

Da Brineura unter außergewöhnlichen Umständen zugelassen wurde, wird das Unternehmen, das Brineura in Verkehr bringt, weitere Daten aus Studien zur Sicherheit von Brineura, einschließlich des Risikos allergischer Reaktionen bei langfristiger Anwendung, sowie zu seiner langfristigen Wirksamkeit in Bezug auf die Verlangsamung oder das Aufhalten der Verschlechterung der Beweglichkeit und der Sprachfähigkeiten bereitstellen. Die Studien werden Kinder im Alter von unter 2 Jahren, für die bisher keine Daten vorliegen, einschließen.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Brineura ergriffen?

Das Unternehmen, das Brineura in Verkehr bringt, wird sicherstellen, dass alle Angehörigen der Heilberufe, die dieses Arzneimittel voraussichtlich anwenden, Schulungsmaterial zur Anwendung des Arzneimittels und Vermeidung von Problemen mit der Zugangsvorrichtung, wie etwa Infektionen oder Verstopfungen, erhalten werden.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Brineura, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Weitere Informationen über Brineura

Den vollständigen Wortlaut des EPAR für Brineura finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Brineura benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Die Zusammenfassung des Gutachtens des Ausschusses für Arzneimittel für seltene Leiden zu Brineura finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).