



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Περίληψη EPAR για το κοινό

---

### Brineura cerliponase alfa

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Brineura. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο ο Οργανισμός αξιολόγησε το φάρμακο προτού εισηγηθεί τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στην Ευρωπαϊκή Ένωση και διατυπώσει συστάσεις σχετικά με τους όρους χρήσης του. Δεν αποσκοπεί στην παροχή πρακτικών συμβουλών για τον τρόπο χρήσης του Brineura.

Για πρακτικές πληροφορίες σχετικά με τη λήψη του Brineura, οι ασθενείς πρέπει να συμβουλευούνται το φύλλο οδηγιών χρήσης ή να επικοινωνούν με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό τους.

### **Τι είναι το Brineura και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;**

Το Brineura είναι φάρμακο για τη θεραπεία της νευρωνικής κηροειδούς λιποφουσκίνωσης τύπου 2 (νόσος CLN2), μια κληρονομική πάθηση στα παιδιά που οδηγεί σε προοδευτική εγκεφαλική βλάβη.

Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με CLN2 και, άρα, της σπανιότητας της ασθένειας, το Brineura χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 13Μαρτίου 2013.

Το Brineura περιέχει τη δραστική ουσία cerliponase alfa.

### **Πώς χρησιμοποιείται το Brineura;**

Το Brineura χορηγείται μέσω έγχυσης απευθείας στον εγκέφαλο. Πριν από την πρώτη έγχυση, ο ασθενής θα πρέπει να υποβληθεί σε χειρουργική επέμβαση για την εμφύτευση μιας συσκευής, η οποία εκτείνεται από το εξωτερικό του κρανίου έως την κοιλότητα υγρού του εγκεφάλου όπου και χορηγείται το φάρμακο.

Οι εγχύσεις χορηγούνται μία φορά κάθε δύο εβδομάδες από επαγγελματία υγείας που να γνωρίζει τη διαδικασία χορήγησης φαρμάκων στον εγκέφαλο. Για να μειωθεί ο κίνδυνος εμφάνισης αντιδράσεων που σχετίζονται με την έγχυση, πριν ή κατά τη διάρκεια της θεραπείας με το Brineura, μπορούν να

---

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](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European Union



χορηγηθούν στους ασθενείς άλλα φάρμακα ή να παραταθεί η διάρκεια της έγχυσης. Η θεραπεία μπορεί να συνεχιστεί για όσο χρονικό διάστημα παρατηρούνται οφέλη για τον ασθενή.

Το Brineura χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Για περισσότερες πληροφορίες, ανατρέξτε στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

## **Πώς δρα το Brineura;**

Οι ασθενείς με CLN2 παρουσιάζουν έλλειψη ενός ενζύμου που απαιτείται για τη φυσιολογική ανάπτυξη του εγκεφάλου και ονομάζεται τριπεπτιδυλική-πεπτιδάση-1 (TPP1). Η δραστική ουσία που περιέχεται στο Brineura, η cerliponase alfa, είναι αντίγραφο της TPP1 και χρησιμοποιείται ως υποκατάστατο για το ένζυμο που απουσιάζει.

Το φάρμακο εγχέεται απευθείας εντός του εγκεφάλου με σκοπό να παρακάμψει τον αιματοεγκεφαλικό φραγμό, έναν προστατευτικό φραγμό που διαχωρίζει τη ροή του αίματος από τον εγκέφαλο και εμποδίζει την είσοδο ουσιών, όπως φάρμακα, στον εγκεφαλικό ιστό.

## **Ποια είναι τα οφέλη του Brineura σύμφωνα με τις μελέτες;**

Σε πρώιμες μελέτες, έχει αποδειχθεί ότι το Brineura μειώνει τον ρυθμό επιδείνωσης της νόσου, όπως αυτός μετράται με την τυπική κλίμακα βαθμολόγησης.

Σε μια μελέτη στην οποία συμμετείχαν 23 παιδιά (με ηλικία 4 ετών κατά μέσο όρο) τα οποία έλαβαν Brineura για σχεδόν ένα έτος, 20 από τα 23 παιδιά (87%) δεν παρουσίασαν μείωση 2 βαθμών όσον αφορά τις κινητικές και γλωσσικές δεξιότητες, γεγονός που έχει παρατηρηθεί στο παρελθόν σε ασθενείς που δεν λαμβάνουν θεραπεία.

Η βαθμολόγηση πραγματοποιήθηκε από γιατρούς που έδωσαν στους ασθενείς μεμονωμένες βαθμολογίες για τις κινητικές και τις γλωσσικές δεξιότητες (όπου το 0 υποδεικνύει την πλέον σοβαρή δυσλειτουργία και το 3 αποτελεί το φυσιολογικό επίπεδο δεξιοτήτων) Η τελική βαθμολογία για κάθε ασθενή προέκυψε από το άθροισμα των δύο βαθμολογιών.

Σε μια μελέτη παρακολούθησης, τα οφέλη του Brineura διήρκεσαν για ένα ακόμη έτος, με τα αποτελέσματα να δείχνουν ότι η νόσος θα μπορούσε να επιβραδυνθεί στην πλειοψηφία των ασθενών. Η μελέτη αυτή βρίσκεται ακόμα σε εξέλιξη.

## **Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Brineura;**

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Brineura (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερα από 1 στα 5 άτομα) είναι πυρεξία, χαμηλά επίπεδα πρωτεΐνης στο εγκεφαλονωτιαίο υγρό (ENY) (το υγρό στον εγκέφαλο και τον νωτιαίο μυελό), ανωμαλίες του ΗΚΓ (μια δοκιμασία ελέγχου της δραστηριότητας της καρδιάς), έμετος, λοιμώξεις της ανώτερης αναπνευστικής οδού (λοιμώξεις της μύτης και του λάρυγγα) και αντιδράσεις υπερευαισθησίας (αλλεργικές). Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών που αναφέρθηκαν με το Brineura περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Το Brineura δεν θα πρέπει να χορηγείται σε ασθενείς οι οποίοι έχουν παρουσιάσει απειλητικές για τη ζωή αντιδράσεις υπερευαισθησίας (αλλεργικές) με το Brineura και των οποίων τα συμπτώματα εξακολουθούν να εμφανίζονται κατά την επαναχορήγηση του Brineura. Επίσης, δεν θα πρέπει να χορηγείται σε ασθενείς οι οποίοι έχουν εμφυτευμένη συσκευή για την παροχέτευση επιπλέον υγρού από τον εγκέφαλο. Τέλος, οι ασθενείς δεν θα πρέπει να λαμβάνουν Brineura, ενώ υπάρχουν προβλήματα με τη συσκευή, όπως διάρροη ή λοίμωξη.

## **Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Brineura;**

Τα διαθέσιμα δεδομένα καταδεικνύουν ότι το Brineura συμβάλλει στην επιβράδυνση της έκπτωσης των κινητικών και γλωσσικών δεξιοτήτων σε ασθενείς με CLN2, μια πάθηση για την οποία δεν υπάρχει άλλη διαθέσιμη θεραπεία.

Όσον αφορά την ασφάλεια του φαρμάκου, τα δεδομένα δεν αποκαλύπτουν μη αποδεκτές ανησυχίες. Ως εκ τούτου, η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) του Οργανισμού κατέληξε στο συμπέρασμα ότι τα οφέλη του Brineura υπερτερούν των διαπιστωθέντων κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Το Brineura εγκρίθηκε με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων», διότι, λόγω της σπανιότητας της ασθένειας, δεν κατέστη δυνατή η συγκέντρωση ολοκληρωμένων πληροφοριών για το Brineura. Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων θα επανεξετάζει ετησίως κάθε νέο πληροφοριακό στοιχείο που θα είναι διαθέσιμο και η παρούσα περίληψη θα ενημερώνεται αναλόγως.

## **Ποια στοιχεία για το Brineura αναμένεται να υποβληθούν;**

Δεδομένου ότι το Brineura εγκρίθηκε με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων», η παρασκευάστρια εταιρεία του θα παράσχει περαιτέρω δεδομένα από μελέτες σχετικά με την ασφάλεια του Brineura, συμπεριλαμβανομένου του κινδύνου εμφάνισης αλλεργικών αντιδράσεων κατά τη μακροχρόνια χρήση του φαρμάκου, καθώς και σχετικά με τη μακροχρόνια αποτελεσματικότητά του στην επιβράδυνση ή τη διακοπή της επιδείνωσης των κινητικών και γλωσσικών δεξιοτήτων. Στις μελέτες θα συμμετέχουν και παιδιά κάτω των 2 ετών, για τα οποία δεν υπάρχουν ακόμα δεδομένα.

## **Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Brineura;**

Η εταιρεία που εμπορεύεται το Brineura θα φροντίσει να διαθέσει εκπαιδευτικό υλικό σε όλους τους επαγγελματίες υγείας που πρόκειται να χορηγήσουν το φάρμακο, το οποίο θα περιέχει οδηγίες χρήσης/χορήγησης του φαρμάκου, καθώς και οδηγίες για την αποφυγή των προβλημάτων με τη συσκευή, όπως λοίμωξη ή απόφραξη.

Οι συστάσεις τις οποίες θα πρέπει να ακολουθήσουν και οι προφυλάξεις τις οποίες θα πρέπει να λάβουν οι επαγγελματίες του τομέα της υγείας και οι ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Brineura έχουν επίσης συμπεριληφθεί στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης του φαρμάκου.

## **Λοιπές πληροφορίες για το Brineura**

Η πλήρης EPAR του Brineura διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Brineura, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Η περίληψη της γνώμης της επιτροπής ορφανών φαρμάκων για το Brineura διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).