



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kokkuvõte üldsusele

Brineura

alfatserliponaas

See on ravimi Brineura Euroopa avaliku hindamisaruande kokkuvõte. Selles selgitatakse, kuidas amet hindas ravimit, et soovitada müügiloa andmist Euroopa Liidus ja kasutustingimusi. Hindamisaruandes ei anta Brineura kasutamise praktilisi nõuandeid.

Kui vajate Brineura kasutamise praktilisi nõuandeid, lugege pakendi infolehte või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Mis on Brineura ja milleks seda kasutatakse?

Brineura on ravim, mida kasutatakse II tüüpi neuronaalse tseroidse lipofustsinoosi (CLN2) raviks; see on lastel esinev pärilik haigus, mis põhjustab progresseeruvat ajukahjustust.

Et II tüüpi neuronaalse tseroidse lipofustsinoosiga patsientide arv on väike ja see haigus esineb harva, nimetati Brineura 13. märtsil 2013 harvikravimiks.

Brineura sisaldab toimeainena alfatserliponaasi.

Kuidas Brineurat kasutatakse?

Brineurat manustatakse infusioonina peaaegu. Enne esimest infusiooni implanteeritakse patsiendile kirurgiliselt vahend, mille abil juhitakse ravimit läbi koljuluu ajuvatsakesse.

Ravimit manustab infusioonina iga kahe nädala järel ravimite ajusisesese manustamise eriteadmistega tervishoiutöötaja. Infusioonireaktsioonide riski vähendamiseks võidakse patsientidele anda Brineuraga toimuva ravi eel või ajal muid ravimeid, samuti võidakse infusiooni aeglustada. Ravi tohib jätkata seni, kuni see on patsiendile kasulik.

Brineura on retseptiravim. Üksikasjalik teave on pakendi infolehel.

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



Kuidas Brineura toimib?

II tüüpi neuronaaalse tseroidse lipofustsinoosiga patsientidel puudub aju normaalseks arenguks vajalik ensüüm tripeptidüül-peptidaas-1 (TPP1). Brineura toimeaine alfatserliponaas on TPP1 koopia, mis asendab puuduva ensüümi asendamiseks.

Ravimit manustatakse infusioonina otse ajju, et mitte kahjustada hematoentsefaalbarjääri – kaitsebarjääri, mis eraldab vereringet ajust ning takistab ainete, näiteks ravimite sattumist ajukoosse.

Milles seisneb uuringute põhjal Brineura kasulikkus?

Brineura on esimestes uuringutes osutunud standardse hindamisskaala alusel efektiivseks haiguse progresseerumise aeglustamisel.

Ühes uuringus said 23 last (keskmine vanus 4 aastat) Brineura-ravi peaaegu aasta vältel, neist 20 lapsel (87%) ei esinenud motoorse ja kõnefunktsiooni skoori 2-punktilist langust, mida on varem täheldatud ravimata patsientidel.

Uuringus hindasid arstid iga patsiendi mootorset ja kõnefunktsiooni (skoor 0 tähendas tugevalt vähenenud funktsiooni ja 3 normaalset). Patsiendi lõplik skoor oli kummagi skoori summa.

Järeluuringus täheldati Brineura kasuliku toime püsimist veel ühe aasta vältel ning tulemused tõendasid, et enamikul patsientidel on võimalik haiguse progresseerumist edasi lükata. Uuring veel kestab.

Mis riskid Brineuraga kaasnevad?

Brineura kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 5st) on palavik, tserebrospinaalvedeliku (pea- ja seljaajuvedelik) väike valgusisaldus, EKG (südame elektritalitluse teatud uuringu) ebanormaalsed tulemused, oksendamine, ülemiste hingamisteede (nina- ja kõri) infektsioonid ja allergilised (ülitundlikkus-) reaktsioonid. Brineura kohta teatatud kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

Brineurat ei tohi kasutada patsiendid, kellel on esinenud eluohtlik allergiline reaktsioon Brineura suhtes ja kelle sümptomid Brineuraga toimuva ravi taasalustamisel taastusid. Brineurat ei tohi kasutada ka patsiendid, kellel on implanteeritud šunt, mis juhib välja liigset ajuvedelikku. Brineurat ei tohi kasutada ka implanteeritava vahendiga seotud tüsistuste, näiteks lekke või infektsiooni korral.

Miks Brineura heaks kiideti?

Kättesaadavad andmed tõendavad, et Brineura aitab II tüüpi neuronaaalse tseroidse lipofustsinoosiga patsientidel aeglustada mootorsete ja kõneoskuste halvenemist; selle seisundi raviks ei ole muud ravi.

Andmetest ei nähtu vastuvõetamatuid ohutusprobleeme. Inimravimite komitee järeldas seetõttu, et Brineura kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid, ja soovitas ravimi kasutamise Euroopa Liidus heaks kiita.

Brineura müügiluba anti erandkorras. See tähendab, et harvaesineva haiguse tõttu ei olnud võimalik saada Brineura kohta täielikku teavet. Euroopa Ravimiamet vaatab igal aastal läbi kogu uue teabe ja vajaduse korral uuendab käesolevat kokkuvõtet.

Mis teavet Brineura kohta veel oodatakse?

Et Brineura on saanud müügiluba erandkorras, esitab ravimi turustaja täiendavad andmed Brineura ohutuse uuringutest, sealhulgas allergiliste reaktsioonide riski kohta pikaajalisel kasutamisel ning

pikaajalise efektiivsuse kohta mootorsete ja kõneoskuste halvenemise edasilükkamisel või peatamisel. Uuringutesse kaasatakse alla 2-aastased lapsed, kelle kohta praegu andmed puuduvad.

Mis meetmed võetakse, et tagada Brineura ohutu ja efektiivne kasutamine?

Brineura turustaja varustab kõik ravimit eeldatavalt kasutavad tervishoiutöötajad teabematerjaliga, kuidas ravimit kasutada ja vältida seadmega kaasnevaid probleeme, näiteks infektsioone või ummistumist.

Brineura ohutu ja efektiivse kasutamise soovitused ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Muu teave Brineura kohta

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst Brineura kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Kui vajate Brineuraga toimuva ravi kohta lisateavet, lugege palun pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Harvikravimite komitee arvamuse kokkuvõte Brineura kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).