



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Julkinen EPAR-yhteenveto

Brineura

serliponaasi alfa

Tämä on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Brineura-lääkevalmistetta. Tekstissä selitetään, miten virasto on arvioinut lääkevalmistetta ja päätenyt puoltamaan myyntiluvan myöntämistä sille ja suosituksiin sen käytön ehdoista. Tarkoituksena ei ole antaa käytännön neuvoja Brineuran käytöstä.

Potilas saa Brineuran käyttöä koskevaa tietoa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Mitä Brineura on ja mihin sitä käytetään?

Brineura on neuronaalisen seroidilipofuskiinooosi tyyppi 2:n (CLN2) hoitoon tarkoitettu lääke. Se on lapsilla esiintyvä perinnöllinen sairaus, joka johtaa etenevään aivovaurioon.

Koska CLN2:ta sairastavia potilaita on vähän, sairaus katsotaan harvinaiseksi. Brineura nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 13. maaliskuuta 2013.

Brineuran vaikuttava aine on serliponaasi alfa.

Miten Brineuraa käytetään?

Brineura annetaan infuusiona suoraan aivoihin. Ennen ensimmäistä infuusiota potilaalle on asennettava kirurgisesti annostelulaite. Se kulkee kallon ulkopuolelta aivokammioon, johon lääke annostellaan.

Infuusiota antaa kahden viikon välein terveydenhuollon ammattilainen, joka on perehtynyt antamaan lääkkeitä aivoihin. Infuusioon liittyvien reaktioiden riskin vähentämiseksi potilaille voidaan antaa muita lääkkeitä ennen Brineura-hoitoa tai sen aikana, tai infuusiota voidaan hidastaa. Hoitoa voidaan jatkaa niin kauan kuin potilas hyötyy siitä.

Brineuraa saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Lisätietoja on pakkausselosteessa.

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



Miten Brineura vaikuttaa?

CLN2-potilailta puuttuu tripeptidyylipeptidaasi 1 (TPP1) -niminen entsyymi, jota tarvitaan aivojen normaaliin kehittymiseen. Brineuran vaikuttava aine serliponaasi alfa on TPP1:n kopio, joka korvaa puuttuvan entsyymin.

Lääke annetaan infuusiona suoraan aivoihin veri-aivoesteen ohittamiseksi. Tämä on verivirran aivoista erottava suojaeste, joka estää aineiden, kuten lääkkeiden, pääsyn aivoihin.

Mitä hyötyä Brineurasta on havaittu tutkimuksissa?

Brineuran on osoitettu varhaisissa tutkimuksissa hidastavan sairauden etenemismopeutta standardilla arviointiasteikolla mitattuna.

Tutkimuksessa, jossa 23 lasta (keskimäärin 4-vuotiaita) sai Brineura-hoitoa melkein vuoden ajan, 20 potilaan (87 %) liikunnalliset ja kielelliset taidot eivät heikentyneet kahden pisteen verran, mitä oli aiemmin havaittu hoitamattomilla potilailla.

Lääkärit arvioivat potilaat antamalla heille yksilölliset pisteet liikunnallisista ja kielellisistä taidoista (0 tarkoittaa vaikeinta tilannetta ja 3 normaalia tilannetta). Potilaan lopulliset pisteet olivat näiden kahden pistemäärän yhteissumma.

Seurantatutkimuksessa Brineuran hyödyt kestivät toisenkin vuoden. Tulokset osoittivat, että sairaus hidastui useimmilla potilailla. Tämä tutkimus on vielä meneillään.

Mitä riskejä Brineuraan liittyy?

Brineuran yleisimmät sivuvaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle viidestä) ovat kuume, matala aivo-selkäydinnesteen proteiinipitoisuus, EKG:n (sydämen aktiivisuutta mittaavan kokeen) poikkeavuudet, oksentelu, ylähengitysteiden infektiot (nenän tai kurkun infektiot) ja yliherkkyysoireet (allergiset reaktiot). Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Brineuran ilmoitetuista haittavaikutuksista.

Brineuraa ei saa antaa potilaille, jotka ovat saaneet hengenvaarallisia yliherkkyysoireita (allergisia reaktioita) Brineurasta ja joilla oireet ovat palanneet, kun Brineuraa on annettu uudelleen. Sitä ei saa myöskään antaa potilaille, joille on asennettu suntti ylimääräisen nesteen poistamiseksi aivoista. Lisäksi Brineuraa ei saa antaa potilaille, jos annostelulaitteessa on ongelmia, kuten vuoto tai infektio.

Miksi Brineura on hyväksytty?

Saatavilla olevat tiedot osoittavat, että Brineura auttaa hidastamaan liikunnallisten ja kielellisten taitojen heikkenemistä CLN2-potilailla. CLN2 on sairaus, johon ei ole muita hoitoja.

Tietojen perusteella valmistamiseen ei liity mitään turvallisuutta koskevia merkittäviä huolenaiheita. Viraston lääkevalmistekomitea (CHMP) katsoi, että Brineuran hyöty on sen riskejä suurempi, ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille EU:ssa.

Brineura on saanut myyntiluvan ns. poikkeusolosuhteissa. Tämä johtuu siitä, että sairauden harvinaisuuden vuoksi Brineurasta ei ole ollut mahdollista saada täydellisiä tietoja. Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä yhteenvetoa päivitetään tarvittaessa.

Mitä tietoja Brineurasta odotetaan vielä saatavan?

Koska Brineuralle on annettu myyntilupa poikkeusolosuhteissa, sitä markkinoiva yhtiö toimittaa lisätietoja Brineuran turvallisuustutkimuksista, kuten allergisten reaktioiden riskistä pitkäaikaiskäytössä, ja sen pitkäaikaisesta tehosta liikunnallisten ja kielellisten taitojen heikkenemisen hidastamisessa tai pysäyttämässä. Tutkimuksissa on mukana alle 2-vuotiaita lapsia, joista ei ole tällä hetkellä tietoja.

Miten voidaan varmistaa Brineuran turvallinen ja tehokas käyttö?

Brineuraa markkinoiva yhtiö varmistaa, että kaikille terveydenhuollon ammattilaisille, joiden odotetaan käyttävän tätä lääkettä, toimitetaan koulutusmateriaalia valmisteen käytöstä ja siitä, miten vältetään annostelulaitteeseen liittyvät ongelmat, kuten infektiot tai tukos.

Suosituksia ja varotoimia, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Brineuran käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Muita tietoja Brineurasta

Brineuraa koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan viraston verkkosivustolla osoitteessa: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lisää tietoa Brineuralla annettavasta hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tiivistelmä harvinaislääkekomitean Brineuraa koskevasta lausunnosta on viraston verkkosivustolla osoitteessa: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).