



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Résumé EPAR à l'intention du public

---

### Brineura cerliponase alfa

Le présent document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Brineura. Il explique de quelle manière l'évaluation du médicament à laquelle l'Agence a procédé l'a conduite à recommander son autorisation au sein de l'UE ainsi que ses conditions d'utilisation. Il ne vise pas à fournir des conseils pratiques sur la façon d'utiliser Brineura.

Pour obtenir des informations pratiques sur l'utilisation de Brineura, les patients sont invités à lire la notice ou à contacter leur médecin ou leur pharmacien.

### Qu'est-ce que Brineura et dans quel cas est-il utilisé?

Brineura est un médicament utilisé pour le traitement de la céréoïde lipofuscinose neuronale de type 2 (CLN2), une maladie héréditaire qui se développe pendant l'enfance et qui entraîne des lésions cérébrales progressives.

Étant donné le faible nombre de patients touchés par la CLN2, cette maladie est dite «rare». C'est pourquoi Brineura a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 13 mars 2013.

Brineura contient le principe actif cerliponase alfa.

### Comment Brineura est-il utilisé?

Brineura est perfusé directement dans le cerveau. Avant la première perfusion, le patient devra subir une intervention chirurgicale pour l'implantation d'un dispositif d'administration, qui va de l'extérieur du crâne jusque dans la cavité remplie de liquide du cerveau où le médicament est délivré.

Les perfusions sont administrées une fois toutes les deux semaines par un professionnel de la santé formé qui maîtrise l'administration de médicaments dans le cerveau. Afin de réduire les risques de réactions liées à la perfusion, il est possible d'administrer aux patients d'autres médicaments avant ou

---

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



pendant le traitement par Brineura ou de ralentir la vitesse de perfusion. Le traitement peut se poursuivre aussi longtemps que le patient en tire un bénéfice.

Brineura n'est délivré que sur ordonnance. Pour plus d'informations, voir la notice.

## **Comment Brineura agit-il?**

Les patients atteints de CLN2 sont dépourvus d'une enzyme indispensable au développement normal du cerveau appelée tripeptidyl-peptidase-1 (TPP1). Le principe actif de Brineura, la cerliponase alfa, est une copie de TPP1 et est utilisé en remplacement de l'enzyme manquante.

Le médicament est perfusé directement dans le cerveau afin de contourner la barrière hémato-encéphalique, une barrière protectrice qui sépare le flux sanguin du cerveau, et empêche des substances telles que les médicaments, d'entrer dans le tissu cérébral.

## **Quels sont les bénéfices de Brineura démontrés au cours des études?**

Dans les premières études effectuées, il a été démontré que Brineura réduit la vitesse à laquelle la maladie s'aggrave, ceci ayant été mesuré au moyen d'une échelle d'évaluation standard.

Dans une étude dans laquelle 23 enfants (âgés en moyenne de 4 ans) ont été traités par Brineura pendant près d'un an, 20 d'entre eux (87 %) n'ont pas présenté la diminution de 2 points des facultés motrices et des fonctions du langage observée depuis toujours chez les patients ne recevant pas de traitement.

L'évaluation a été réalisée par des médecins qui ont donné aux patients des scores individuels pour les facultés motrices et pour les fonctions du langage (où 0 signifie une altération sévère, et 3 des capacités normales). Le score final d'un patient était la somme des deux scores.

Dans une étude de suivi, les bénéfices de Brineura ont duré une année de plus, les résultats montrant que la maladie pouvait être retardée chez la majorité des patients. Cette étude est toujours en cours.

## **Quels sont les risques associés à l'utilisation de Brineura?**

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Brineura (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 5) sont la fièvre, des taux faibles de protéine dans le liquide céphalorachidien (le liquide dans le cerveau et la moelle épinière), des anomalies à l'ECG (un test de l'activité cardiaque), les vomissements, les infections des voies respiratoires supérieures (infections du nez et de la gorge), et des réactions d'hypersensibilité (allergiques). Pour une description complète des effets indésirables observés sous Brineura, voir la notice.

Brineura ne doit pas être administré aux patients qui ont présenté des réactions d'hypersensibilité (allergiques) menaçant leur pronostic vital sous Brineura et dont les symptômes sont réapparus lorsque Brineura leur a de nouveau été administré. Il ne doit pas non plus être administré aux patients qui ont un petit tube (shunt) implanté pour drainer l'excès de liquide dans le cerveau. Enfin, les patients ne doivent pas recevoir Brineura tant qu'ils ont des problèmes avec le dispositif, tels que des fuites ou une infection.

## **Pourquoi Brineura est-il approuvé?**

Les données disponibles montrent que Brineura contribue à ralentir la baisse des facultés motrices et des fonctions du langage chez les patients atteints de CLN2, une affection pour laquelle il n'existe pas d'autres traitements.

En ce qui concerne sa sécurité, les données ne soulèvent pas de préoccupations inacceptables. Le comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'Agence a donc estimé que les bénéfices de Brineura sont supérieurs à ses risques et a recommandé que l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE soit approuvée.

Une autorisation de mise sur le marché «dans des circonstances exceptionnelles» a été délivrée pour Brineura. En effet, il n'a pas été possible d'obtenir des informations complètes concernant Brineura en raison de la rareté de la maladie. Chaque année, l'Agence européenne des médicaments examinera toute nouvelle information disponible et, le cas échéant, procédera à la mise à jour du présent résumé.

### **Quelles informations sont encore en attente au sujet de Brineura?**

Une autorisation de mise sur le marché dans des circonstances exceptionnelles ayant été délivrée pour Brineura, la société qui commercialise ce médicament fournira des données complémentaires provenant d'études sur la sécurité de Brineura, notamment le risque de réactions allergiques en cas d'utilisation à long terme, et sur son efficacité à long terme pour retarder ou enrayer la détérioration des facultés motrices et des fonctions du langage. Ces études incluront des enfants âgés de moins de 2 ans, pour lesquels on ne dispose actuellement d'aucune donnée.

### **Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Brineura?**

La société qui commercialise Brineura s'assurera que tous les professionnels des soins de santé appelés à utiliser ce médicament reçoivent des documents pédagogiques les informant sur la manière de l'utiliser et sur la manière d'éviter des problèmes avec le dispositif, tels que l'infection ou l'obstruction.

Les recommandations et précautions à observer par les professionnels des soins de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Brineura ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

### **Autres informations relatives à Brineura:**

L'EPAR complet relatif à Brineura est disponible sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Pour plus d'informations sur le traitement par Brineura, veuillez consulter la notice (également comprise dans l'EPAR) ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Le résumé de l'avis du comité des médicaments orphelins relatif à Brineura est disponible sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).