



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## EPAR, sažetak za javnost

---

# Brineura

## cerliponase alfa

Ovo je sažetak europskoga javnog izvješća o procjeni (EPAR) lijeka Brineura. Objašnjava kako je Agencija ocijenila lijek kako bi preporučila njegovo odobrenje u EU-u te uvjete za njegovu primjenu. Svrha sažetka nije davati praktične savjete o primjeni lijeka Brineura.

Praktične informacije o primjeni lijeka Brineura bolesnici trebaju pročitati u uputi o lijeku, odnosno obratiti se svom liječniku ili ljekarniku.

### Što je Brineura i za što se koristi?

Brineura je lijek koji se upotrebljava za liječenje neuronalne ceroidne lipofuscinoze tipa 2 (CLN2), nasljedne bolesti u djece koja dovodi do progresivnog oštećenja mozga.

Budući da je broj bolesnika s CLN2 nizak, dotična se bolest smatra „rijetkom“ te je lijek Brineura dobio status „lijeka za rijetke bolesti“ od 13. ožujka 2013.

Lijek Brineura sadrži djelatnu tvar cerliponase alfa.

### Kako se Brineura koristi?

Brineura se ubrizgava izravno u mozak. Bolesniku se prije prve infuzije operacijom ugrađuje uređaj koji prolazi od vanjskog dijela lubanje do moždane šupljine u kojoj se nalazi tekućina i u koju se lijek prenosi.

Infuzija se prima jedanput u dva tjedna, a provodi je zdravstveni radnik osposobljen za davanje lijekova u mozak. Kako bi se smanjio rizik od reakcija u vezi s infuzijom, bolesnicima se mogu davati drugi lijekovi prije ili nakon liječenja lijekom Brineura ili se infuzija može usporiti. Liječenje može trajati onoliko dugo koliko bolesnik ima koristi od liječenja.

Lijek Brineura izdaje se samo na recept. Za dodatne informacije vidjeti uputu o lijeku.

---

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



## Kako djeluje Brineura?

Bolesnicima koji boluju od CLN2 nedostaje enzim tripeptidil peptidaza I (TPP1), koji je potreban za normalan razvoj mozga. Djelatna tvar u lijeku Brineura, cerliponase alfa, kopija je enzima TPP1 te se upotrebljava kao zamjena za enzim koji nedostaje.

Lijek se ubrizgava izravno u mozak kako bi se zaobišla krvno-moždana barijera, zaštitna barijera koja odvaja krvotok od mozga i sprečava da tvari kao što su lijekovi prodru u moždano tkivo.

## Koje su koristi lijeka Brineura dokazane u ispitivanjima?

U ranim je ispitivanjima dokazano da lijek Brineura smanjuje stopu progresije bolesti prema standardnoj ljestvici ocjenjivanja.

Ispitivanje je obuhvatilo 23 djece (prosječne dobi od četiri godine) koja su liječena lijekom Brineura tijekom gotovo jedne godine, od čega se u 20 djece (87 %) nije pojavila regresija od dva posto u motoričkim i jezičnim vještinama koja se inače javlja u bolesnika koji ne primaju lijek.

Ocjenjivanje su proveli liječnici koji su pojedinačno ocijenili motoričke i jezične vještine svakog bolesnika (pri čemu je 0 najlošije, a 3 normalno). Konačna ocjena pojedinog bolesnika bila je zbroj dviju navedenih ocjena.

Longitudinalnim ispitivanjem utvrđeno je da su koristi od lijeka Brineura potrajale još jednu godinu, a rezultati pokazuju da se progresija bolesti usporila u većine bolesnika. Ispitivanje se i dalje provodi.

## Koji su rizici povezani s lijekom Brineura?

Najčešće nuspojave lijeka Brineura (koje se mogu javiti u više od 1 na 5 osoba) su povišena temperatura, snižene razine bjelančevina u cerebrospinalnoj tekućini (tekućina u mozgu i kralježničkoj moždini), nepravilnosti EKG-a (ispitivanje srčane aktivnosti), povraćanje, infekcije gornjih dišnih putova (infekcije nosa i grla) i hipersenzitivne (alergijske) reakcije. Potpuni popis nuspojava zabilježenih pri primjeni lijeka Brineura potražite u uputi o lijeku.

Lijek Brineura ne smije se davati bolesnicima koji su uz primjenu lijeka Brineura imali hipersenzitivne (alergijske) reakcije opasne po život te onima čiji su se simptomi ponovno javili kad je lijek Brineura ponovno primijenjen. Osim toga, lijek se ne smije davati bolesnicima kojima je ugrađen odvod za drenažu viška tekućine iz mozga. Naposljetku, lijek Brineura se ne smije davati bolesnicima ako postoji bilo kakav problem s uređajem, kao što je curenje ili infekcija.

## Zašto je lijek Brineura odobren?

Dostupni podatci dokazuju da lijek Brineura pomaže u usporavanju regresije motoričkih i jezičnih vještina u bolesnika koji boluju od CLN2, bolesti za koju ne postoje drugi lijekovi.

U pogledu sigurnosti, podatci ne upućuju na neprihvatljive razloge za zabrinutost. Odbor za lijekove za humanu uporabu (CHMP) pri Agenciji odlučio je da koristi lijeka Brineura nadmašuju s njim povezane rizike te je preporučio njegovo odobrenje za primjenu u Europskoj uniji.

Lijek Brineura odobren je u „iznimnim okolnostima“. Razlog tomu je nemogućnost dobivanja potpunih informacija o lijeku Brineura zbog rijetкости bolesti. Svake godine Europska agencija za lijekove procjenjuje sve nove informacije koje postanu dostupne te se ovaj sažetak po potrebi ažurira.

## **Koje se još informacije očekuju o lijeku Brineura?**

Budući da je lijek Brineura odobren u iznimnim okolnostima, tvrtka koja ga stavlja na tržište pružit će dodatne podatke iz ispitivanja o sigurnosti lijeka Brineura, uključujući rizik od alergijskih reakcija kad se on upotrebljava kroz dulje razdoblje, i o dugoročnoj učinkovitosti u usporavanju ili zaustavljanju regresije motoričkih i jezičnih vještina. Ispitivanjima će se obuhvatiti djeca u dobi do dvije godine, za koju trenutačno nema podataka.

## **Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Brineura?**

Tvrtka koja stavlja na tržište lijek Brineura osigurat će materijale za obuku o načinu uporabe i sprečavanju problema s uređajem, kao što su infekcija ili začepljenje, svim zdravstvenim radnicima koji budu primjenjivali ovaj lijek.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Brineura nalaze se također u sažetku opisa svojstava i u uputi o lijeku.

## **Ostale informacije o lijeku Brineura**

Cjeloviti EPAR za lijek Brineura nalazi se na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Više informacija o liječenju lijekom Brineura pročitajte u uputi o lijeku (također dio EPAR-a), odnosno obratite se svom liječniku ili ljekarniku.

Sažetak mišljenja Odbora za lijekove za rijetke bolesti o lijeku Brineura možete naći na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).