



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Brineura

cerliponáz-alfa

Ez a dokumentum a Brineura-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak a Brineura alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben a Brineura alkalmazásával kapcsolatban gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Milyen típusú gyógyszer a Brineura és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Brineura a 2-es típusú neuronális ceroid lipofuszcínózis (CLN2 betegség) kezelésére szolgáló gyógyszer. Ez egy örökletes betegség gyermekeknél, amely fokozatos agykárosodást eredményez.

Mivel a CLN2-ben szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért a Brineura-t 2013. március 13-án „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették.

A Brineura hatóanyaga a cerliponáz-alfa.

Hogyan kell alkalmazni a Brineura-t?

A Brineura-t közvetlenül az agyba adják be infúzióban. Az első infúzió előtt a betegnél műtétet kell végezni egy eszköz beültetése céljából, amely a koponya külső részéről az agyban található folyadékkamrába vezet, ahová a gyógyszer beadják.

Az infúziókat kéthetente egyszer adja be a gyógyszerek agyba történő beadásában jártas egészségügyi szakember. Az infúzióval kapcsolatos reakciók kockázatának csökkentése érdekében a betegek

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



kaphatnak más gyógyszereket a Brineura kezelés előtt vagy alatt, illetve az infúzió lassabban is beadható. A kezelést addig lehet folytatni, amíg az a beteg számára előnyös.

A Brineura csak receptre kapható. További információ a betegtájékoztatóban található.

Hogyan fejt ki hatását a Brineura?

A CLN2 betegségben szenvedő betegeknél hiányzik a tripeptidil-peptidáz-1 (TPP1) nevű enzim, amely az agy normális fejlődéséhez szükséges. A Brineura hatóanyaga, a cerliponáz-alfa, a TPP1 másolata és a hiányzó enzim pótlására használják.

A gyógyszert közvetlenül az agyba juttatják be, hogy áthidalják a vér-agy gátat. Ez egy védőgát, amely elhatárolja a véráramot az agytól és megakadályozza, hogy a vegyületek, például a gyógyszerek, bejussanak az agyszövetbe.

Milyen előnyei voltak a Brineura alkalmazásának a vizsgálatok során?

A korai vizsgálatokban kimutatták, hogy a Brineura csökkenti a betegség súlyosbodásának sebességét, amelyet egy standard értékelő skálán mértek.

Egy vizsgálatban, amelyben 23 (átlagosan 4 éves) gyermeket kezeltek Brineura-val majdnem egy évig, 20 gyermeknél (87%) nem tapasztalták az a 2 pontos hanyatlást a mozgásban és a nyelvi képességekben, amelyet korábban a kezelésben nem részesülő betegeknél figyeltek meg.

Az értékelést orvosok végezték, akik egyedi pontszámot adtak a betegeknek a mozgásra és a nyelvi képességekre (ahol a 0 a legsúlyosabb és 3 a normális). A beteg végső pontszámát a két pontszám összege adta.

Egy utánkövetéses vizsgálatban a Brineura előnyei még egy évig tartottak, az eredmények azt mutatták, hogy a betegség a betegek többségénél még egy évig késleltethető volt. Ez a vizsgálat még folyamatban van.

Milyen kockázatokkal jár a Brineura alkalmazása?

A Brineura leggyakoribb mellékhatásai (5 beteg közül több mint egynél jelentkezhet) a láz, alacsony fehérjeszint a cerebrospinális folyadékban (CSF; az agyban és a gerincvelőben található folyadék), kóros EKG (a szív aktivitásának vizsgálata), hányás, felső légúti fertőzések (orr- és garatfertőzések) és túlérzékenységi (allergiás) reakciók. A Brineura alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Brineura nem adható olyan betegeknél, akiknél a Brineura alkalmazásával összefüggő életveszélyes túlérzékenységi (allergiás) reakció lépett fel, és akiknél a tünetek újra jelentkeztek, amikor a Brineura-t ismételten alkalmazták. Nem adható továbbá olyan betegeknél, akiknél söntöt helyeztek be az agyban lévő többletfolyadék elvezetése céljából. Végül a betegek nem kaphatnak Brineura-t, ha bármilyen probléma áll fenn az eszközzel kapcsolatban, például szivárgás vagy fertőzés.

Miért engedélyezték a Brineura forgalomba hozatalát?

A rendelkezésre álló adatok azt igazolták, hogy a Brineura segít mérsékelni a mozgás és a nyelvi képességek hanyatlását a CLN2 betegségben szenvedő betegeknél, amely betegségekre nincs más kezelés.

A biztonságosságot illetően az adatok nem vetettek fel elfogadhatatlan aggályokat. Az Ügynökséghez tartozó emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) megállapította, hogy a Brineura

alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszer EU-ban való alkalmazásának jóváhagyását.

A Brineura forgalomba hozatalát „kivételes körülmények” között engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a betegség alacsony előfordulási aránya miatt nem lehetett teljes körű információt gyűjteni a Brineura-ról. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az összefoglalót.

Milyen információk várhatók még a Brineura-val kapcsolatban?

Mivel a Brineura forgalomba hozatalát kivételes körülmények között engedélyezték, a gyógyszert forgalmazó vállalat további adatokat fog benyújtani a Brineura biztonságosságával foglalkozó vizsgálatokból, beleértve az allergiás reakciók kockázatát hosszú távú alkalmazás esetén, valamint a gyógyszer hosszú távú hatékonyságával kapcsolatban a mozgás és a nyelvi képességek súlyosbodásának késleltetése vagy megállítása terén. A vizsgálatban részt vesznek 2 év alatti gyermekek is, akikkel kapcsolatban jelenleg nincsenek adatok.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Brineura biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Brineura-t forgalmazó vállalat biztosítani fogja, hogy a gyógyszert várhatóan alkalmazó valamennyi egészségügyi szakembert ellássanak egy képzési anyaggal arról, hogy hogyan kell alkalmazni a gyógyszert és hogyan kell elkerülni az eszközzel kapcsolatos problémákat, például a fertőzést és az elzáródást.

A Brineura biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Brineura-val kapcsolatos egyéb információ

A Brineura-ra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Amennyiben a Brineura-val történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Brineura-ra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).