



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Riassunto destinato al pubblico

---

# Brineura

## cerliponase alfa

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Brineura. Illustra il modo in cui l'Agenzia ha valutato il medicinale arrivando a raccomandarne l'autorizzazione nell'UE e le condizioni d'uso. Non ha lo scopo di fornire consigli pratici sull'utilizzo di Brineura.

Per informazioni pratiche sull'uso di Brineura i pazienti devono leggere il foglio illustrativo oppure consultare il medico o il farmacista.

### Che cos'è e per che cosa si usa Brineura?

Brineura è un medicinale per il trattamento della lipofusinosi ceroide neuronale di tipo 2 (CLN2), un'affezione ereditaria nei bambini che porta a progressivi danni cerebrali.

Poiché il numero di pazienti affetti da CLN2 è basso, la malattia è considerata "rara" e Brineura è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 13 marzo 2013.

Brineura contiene il principio attivo cerliponase alfa.

### Come si usa Brineura?

Brineura viene infuso direttamente nel cervello. Prima dell'infusione iniziale, il paziente dovrà essere sottoposto a un intervento chirurgico per impiantare un dispositivo, che va dall'esterno del cranio attraverso la cavità fluida fino al cervello, dove il medicinale viene rilasciato.

Le infusioni vengono praticate una volta ogni due settimane da un operatore sanitario esperto nella somministrazione di medicinali nel cervello. Per ridurre il rischio di reazioni da infusione, si possono somministrare ai pazienti altri medicinali prima o durante il trattamento con Brineura oppure si può rallentare l'infusione. Il trattamento può proseguire fino a quando il paziente ne trae beneficio.



Brineura può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Per ulteriori informazioni, vedere il foglio illustrativo.

## **Come agisce Brineura?**

I pazienti affetti da CLN2 sono privi di un enzima necessario per il normale sviluppo cerebrale denominato tripeptidil-peptidasi 1 (TPP1). Il principio attivo di Brineura, cerliponase alfa, è una copia di TPP1 e viene utilizzato in sostituzione dell'enzima mancante.

Il medicinale viene infuso direttamente nel cervello al fine di aggirare la barriera emato-encefalica, una barriera protettiva che separa il flusso sanguigno dal cervello e impedisce a sostanze quali i medicinali di penetrare nel tessuto cerebrale.

## **Quali benefici di Brineura sono stati evidenziati negli studi?**

Nei primi studi è stato evidenziato che Brineura riduce la velocità con cui la malattia progredisce misurata secondo una scala di valutazione standard.

In uno studio su 23 bambini (età media di 4 anni) trattati con Brineura per quasi un anno, 20 di essi (87 %) non hanno manifestato la perdita di 2 punti nelle capacità motorie e linguistiche storicamente osservata nei pazienti che non ricevono trattamento.

La valutazione è stata eseguita da medici che hanno assegnato ai pazienti punteggi separati per le capacità motorie e linguistiche (dove 0 significa più grave e 3 è normale). Il punteggio finale di un paziente corrispondeva alla somma dei due punteggi.

In uno studio di follow-up i benefici di Brineura sono durati per un altro anno; i risultati hanno evidenziato che la malattia poteva essere rallentata nella maggior parte dei pazienti. Questo studio è tuttora in corso.

## **Quali sono i rischi associati a Brineura?**

Gli effetti indesiderati più comuni di Brineura (che possono riguardare più di 1 persona su 5) sono febbre, livelli bassi di proteine nel CSF (il liquido del cervello e del midollo spinale), anomalie nell'ECG (un esame dell'attività cardiaca), vomito, infezioni delle vie respiratorie superiori (infezioni di naso e gola) e reazioni (allergiche) da ipersensibilità. Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Brineura, vedere il foglio illustrativo.

Brineura non deve essere somministrato ai pazienti che hanno manifestato reazioni (allergiche) da ipersensibilità potenzialmente fatali con Brineura e i cui sintomi si sono ripetuti quando il medicinale è stato somministrato di nuovo. Inoltre, non deve essere somministrato ai pazienti ai quali è stato impiantato uno shunt per drenare liquido in eccesso dal cervello. Infine, Brineura non deve essere somministrato ai pazienti se vi sono problemi legati al dispositivo, quali perdite o infezione.

## **Perché Brineura è approvato?**

I dati disponibili dimostrano che Brineura contribuisce a rallentare la perdita delle capacità motorie e linguistiche nei pazienti affetti da CLN2, una malattia per cui non vi sono altri trattamenti.

Per quanto riguarda la sicurezza, dai dati non emerge alcun problema inaccettabile. Il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia ha pertanto concluso che i benefici di Brineura sono superiori ai rischi e ha raccomandato che ne venisse approvato l'uso nell'UE.

Brineura è stato autorizzato in “circostanze eccezionali” perché non è stato possibile ottenere informazioni complete su Brineura a causa della rarità della malattia. Ogni anno l’Agenzia europea per i medicinali esaminerà le nuove informazioni disponibili e questo riassunto sarà aggiornato di conseguenza.

### **Quali informazioni sono ancora attese per Brineura?**

Poiché Brineura è stato autorizzato in circostanze eccezionali, la ditta che lo commercializza fornirà ulteriori dati da studi sulla sicurezza del medicinale, tra cui il rischio di reazioni allergiche qualora utilizzato a lungo termine, e sulla sua efficacia a lungo termine nel rallentare o arrestare il peggioramento delle capacità motorie e linguistiche. Agli studi parteciperanno bambini di età inferiore ai due anni, per i quali attualmente non vi sono dati.

### **Quali sono le misure prese per garantire l’uso sicuro ed efficace di Brineura?**

La ditta che commercializza Brineura garantirà che tutti gli operatori sanitari che dovrebbero utilizzare il medicinale siano dotati di materiale formativo su come usarlo e come prevenire problemi legati al dispositivo, quali infezione o ostruzione.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Brineura sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

### **Altre informazioni su Brineura**

Per la versione completa dell’EPAR di Brineura consultare il sito web dell’Agenzia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con Brineura, leggere il foglio illustrativo (accluso all’EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Il riassunto del parere del comitato per i medicinali orfani relativo a Brineura è disponibile sul sito web dell’Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).