



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## EPAR santrauka plačiajai visuomenei

---

### Brineura cerliponazė alfa

Šis dokumentas yra Brineura Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip agentūra vertino vaistą, kad galėtų rekomenduoti leisti prekiauti šiuo vaistu ES ir nustatyti jo vartojimo sąlygas. Šiame dokumente nepateikta praktinės informacijos apie tai, kaip vartoti Brineura.

Praktinės informacijos apie Brineura vartojimą pacientai turėtų ieškoti pakuotės lapelyje arba kreiptis į savo gydytoją ar vaistininką.

#### Kas yra Brineura ir kam jis vartojamas?

Brineura – tai vaistas, skirtas gydyti 2 tipo neuronų ceroidinę lipofuscinozę (toliau – CLN2), paveldimą vaikų ligą, kuri sukelia progresuojančius galvos smegenų pažeidimus.

Kadangi CLN2 sergančių pacientų nėra daug, ši liga laikoma reta, ir 2013 m. kovo 13 d. Brineura buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai.

Brineura sudėtyje yra veikliosios medžiagos cerliponazės alfa.

#### Kaip vartoti Brineura?

Brineura lašinamas tiesiai į galvos smegenis. Prieš atliekant pirmąją infuziją, pacientui reikia atlikti operaciją, siekiant implantuoti prietaisą, kuris iš kaukolės išorės įvedamas į galvos smegenyse esančią skysčio ertmę, į kurią vaistas lašinamas.

Infuzijas kartą per dvi savaites atlieka sveikatos priežiūros specialistas, gerai išmanantis, kaip lašinti vaistus į galvos smegenis. Siekiant sumažinti su infuzija susijusių reakcijų riziką, prieš lašinant Brineura arba procedūros metu, pacientams galima skirti kitų vaistų arba sulėtinti infuziją. Gydyimą galima tęsti tol, kol jis yra naudingas pacientui.

Brineura galima įsigyti tik pateikus receptą. Daugiau informacijos pateikta pakuotės lapelyje.



## **Kaip veikia Brineura?**

CLN2 sergančių pacientų organizme nesigamina fermentas tripeptidilpeptidazė-1 (TPP1), kuris yra būtinas normaliam galvos smegenų vystymuisi. Veiklioji Brineura medžiaga cerliponazė alfa yra TPP1 kopija ir ji vartojama kaip trūkstamo fermento pakaitalas.

Šis vaistas lašinamas tiesiai į galvos smegenis, siekiant apeiti kraujo–galvos smegenų barjerą – apsauginį barjerą, kuris skiria kraujotaką nuo galvos smegenų ir neleidžia medžiagoms, kaip antai vaistams, patekti į galvos smegenų audinius.

## **Kokia Brineura nauda nustatyta tyrimuose?**

Ankstyvame etape atlikti tyrimai parodė, kad, vertinant pagal standartinę ligos vertinimo skalę, Brineura sulėtina ligos progresavimą.

Atliekant tyrimą, kurio metu 23 vaikai (jų amžiaus vidurkis – 4 metai) beveik metus buvo gydomi Brineura, 20 (87 proc.) vaikų nepasireiškė 2 balų judėjimo ir kalbos funkcijų pablogėjimo, kuris praeityje buvo nustatytas pacientams, kuriems nebuvo taikomas gydymas.

Vertinimą atliko gydytojai, kurie atskirai vertino pacientų judėjimo ir kalbos funkcijas (0 reiškia sunkiausią būklę, o 3 – normalią būklę). Galutinis paciento vertinimo balas buvo tų dviejų vertinimo balų suma.

Atlikus tolesnio stebėjimo tyrimą, nustatyta, kad Brineura nauda išlieka metus, o jo rezultatai patvirtino, kad daugumos pacientų ligos progresavimą galima sulėtinti. Šis tyrimas dar neužbaigtas.

## **Kokia rizika siejama su Brineura vartojimu?**

Dažniausi Brineura šalutiniai reiškiniai (galintys pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 5) yra karščiavimas, sumažėjęs baltymo kiekis galvos ir stuburo smegenų skystyje, elektrokardiogramos rodiklių (širdies veiklos tyrimo rezultatų) nukrypimai nuo normos, vėmimas, viršutinių kvėpavimo takų infekcijos (nosies ir gerklės infekcijos) ir padidėjusio jautrumo (alerginės) reakcijos. Išsamų visų šalutinių reiškinų, apie kuriuos pranešta gydant Brineura, sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Brineura negalima lašinti pacientams, kuriems vartojant Brineura pasireiškė grėsmę gyvybei keliančios padidėjusio jautrumo (alerginės) reakcijos ir jos pasikartojo, kai šio vaisto buvo sulašinta dar kartą. Taip pat jo negalima lašinti pacientams, kuriems implantuotas šuntas skysčio pertekliui iš galvos smegenų drenuoti. Galiausiai pacientams negalima lašinti Brineura, esant bet kokioms su prietaisu susijusioms problemoms, pvz., esant pratekėjimui arba išsivysčius infekcijai.

## **Kodėl Brineura buvo patvirtintas?**

Turimi duomenys patvirtina, kad Brineura padeda sulėtinti CLN2, kurios gydymui nėra jokių kitų vaistų, sergančių pacientų judėjimo ir kalbos funkcijų blogėjimą.

Kalbant apie šio vaisto saugumą, remiantis turimais duomenimis, jokių nepriimtinių rūpestį keliančių klausimų nenustatyta. Todėl agentūros Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) priėjo prie išvados, kad Brineura nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo leisti vartoti šį vaistą ES.

Brineura registruotas išimtinėmis sąlygomis, nes dėl ligos retumo nebuvo įmanoma gauti visos informacijos apie Brineura. Europos vaistų agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją ir, prireikus, atnaujins šią santrauką.

## **Kokia informacija dar turi būti pateikta apie Brineura?**

Kadangi Brineura registruotas išimtinėmis sąlygomis, juo prekiaujanti bendrovė pateiks tolesnius tyrimų duomenis apie Brineura saugumą, įskaitant alerginių reakcijų riziką, kai vaistas vartojamas ilgą laiką, taip pat apie ilgalaikį jo veiksmingumą, siekiant sulėtinti arba sustabdyti judėjimo ir kalbos funkcijų blogėjimą. Į šiuos tyrimus bus įtraukti jaunesni nei 2 metų vaikai, apie kuriuos šiuo metu nėra surinkta jokių duomenų.

## **Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Brineura vartojimą?**

Brineura prekiaujanti bendrovė užtikrins, kad visi sveikatos priežiūros specialistai, kurie galbūt ateityje naudosis šį vaistą gydant savo pacientus, gautų mokomąją medžiagą apie tai, kaip naudoti šį vaistą ir kaip išvengti su prietaisu susijusių problemų, pvz., infekcijos arba užsikimšimo.

Saugaus ir veiksmingo Brineura vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai, taip pat įtrauktos į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį.

## **Kita informacija apie Brineura**

Išsamų Brineura EPAR rasite agentūros interneto svetainėje adresu: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Daugiau informacijos apie gydymą Brineura rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Retųjų vaistinių preparatų komiteto nuomonės apie Brineura santrauką rasite agentūros interneto svetainėje adresu: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).