



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai

Brineura cerliponāze-alfa

Šis ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (EPAR) kopsavilkums par *Brineura*. Tajā ir paskaidrots, kā aģentūra ir vērtējusi šīs zāles, lai ieteiktu to reģistrāciju Eiropas Savienībā un sniegtu lietošanas nosacījumus. Tas nav paredzēts kā praktiski ieteikumi par *Brineura* lietošanu.

Lai saņemtu praktisku informāciju par *Brineura* lietošanu, pacientiem jāizlasa zāļu lietošanas instrukcija vai jāsažinās ar ārstu vai farmaceitu.

Kas ir *Brineura* un kāpēc tās lieto?

Brineura ir paredzētas 2. tipa neironu ceroidās lipofuscinozes (CLN2 slimības) ārstēšanai. Tā ir iedzimta slimība bērniem, kas izraisa progresējošu smadzeņu bojājumu.

Tā kā CLN2 pacientu skaits ir mazs, šo slimību uzskata par "retu" un 2013. gada 13. martā *Brineura* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss.

Brineura satur aktīvo vielu cerliponāzi-alfa.

Kā lieto *Brineura*?

Brineura tiek ievadītas infūzijas veidā tieši smadzenēs. Pirms pirmās infūzijas veikšanas pacientam jāveic operācija, lai implantētu ierīci, kas tiek darbināta ārpus galvaskausa caur smadzeņu šķidrums dobumu, kur zāles tiek ievadītas.

Infūzijas tiek veiktas reizi divās nedēļās. Tās ir jāveic veselības aprūpes speciālistam, kam ir zināšanas par zāļu ievadīšanu smadzenēs. Lai mazinātu ar infūziju saistītu reakciju risku, pacientiem var dot citas zāles pirms *Brineura* terapijas vai tās laikā, vai arī var palēnināt infūzijas ātrumu. Ārstēšanu var turpināt tik ilgi, kamēr pacientam no tās ir ieguvums.

Brineura var iegādāties tikai pret recepti. Sīkāku informāciju skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.



Kā *Brineura* darbojas?

Pacientiem, kuri slimo ar CLN2 slimību, trūkst enzīma tripeptidilpeptidāzes-1 (TPP1), kas ir nepieciešams normālai smadzeņu attīstībai. *Brineura* aktīvā viela cerliponāze-alfa ir TPP1 kopija un tiek lietota trūkstošā enzīma aizstāšanai.

Zāles tiek ievadītas tieši smadzenēs, lai apietu asins-smadzeņu barjeru, aizsargbarjeru, kas atdala asinsriti no smadzenēm un novērš tādu vielu kā, piemēram, zāļu iekļūšanu smadzeņu audos.

Kādas bija *Brineura* priekšrocības šajos pētījumos?

Agrīnajos pētījumos tika pierādīts, ka *Brineura* samazina slimības progresēšanas ātrumu, mērot pēc standarta novērtējuma skalas.

Pētījumā, kurā 23 bērņus (vidējais vecums 4 gadi) gandrīz gadu ārstēja ar *Brineura*, 20 no viņiem (87 %) nenovēroja 2 punktu pasliktināšanos kustību un valodas prasmēs, ko vēsturiski parasti novēro pacientiem, kuri nesaņem ārstēšanu.

Novērtējumu veica ārsti, kuri pacientiem individuāli piešķīra punktus par kustību un valodas prasmēm (kur 0 nozīmē vissmagākā pakāpe un 3 ir norma). Pacienta gala rezultāts bija abu rādītāju summa.

Papildu pētījumā ieguvums no ārstēšanas ar *Brineura* ilga vēl vienu gadu un tika iegūti rezultāti, liecinot, ka slimības attīstība vairumam pacientu varētu tikt aizkavēta. Šis pētījums vēl joprojām turpinās.

Kāds risks pastāv, lietojot *Brineura*?

Visbiežākās, *Brineura* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 5 cilvēkiem) ir drudzis, zemi proteīnu līmeņi cerebrospinalajā šķidrumā, novirzes EKG (sirdsdarbības pārbaudē), vemšana, augšējo elpceļu infekcijas (deguna un rīkles infekcijas), kā arī paaugstinātas jutības (alerģiskas) reakcijas. Pilnu visu ziņoto blakusparādību sarakstu, lietojot *Brineura*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Brineura nedrīkst lietot pacienti, kuriem, lietojot *Brineura*, ir bijušas dzīvībai bīstamas paaugstinātas jutības (alerģiskas) reakcijas un kuriem simptomi ir atkārtējušies, atkal lietojot *Brineura*. To nedrīkst lietot arī pacienti, kuriem ir bijis implantēts šunts liekā šķidruma izvadīšanai no smadzenēm. Visbeidzot, pacienti nedrīkst lietot *Brineura*, kamēr ir jebkādas problēmas ar ierīci, piemēram, noplūde vai infekcija.

Kāpēc *Brineura* tika apstiprināta?

Pieejamie dati liecina, ka *Brineura* palīdz palēnināt kustību un valodas prasmju pasliktināšanos pacientiem, kuri slimo ar CLN2, t. i., slimību, kam nav citu ārstēšanas iespēju.

Attiecībā uz drošumu dati neatklāj nekādas nepieņemamas bažas. Aģentūras Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (CHMP) nolēma, ka ieguvums, lietojot *Brineura*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un ieteica apstiprināt šīs zāles lietošanai ES.

Brineura tika reģistrēta "izņēmuma kārtā". Tas nozīmē, ka sakarā ar šīs slimības retumu nav bijis iespējams iegūt pilnīgu informāciju par *Brineura*. Eiropas Zāļu aģentūra katru gadu pārbaudīs visu pieejamo jauno informāciju un vajadzības gadījumā atjauninās šo kopsavilkumu.

Kāda informācija par *Brineura* vēl ir sagaidāma?

Tā kā *Brineura* ir reģistrēta izņēmuma kārtā, uzņēmums, kas piedāvā tās tirgū, sniegs papildu datus no pētījumiem par *Brineura* drošumu, ieskaitot alerģisko reakciju risku, lietojot zāles ilgstoši, un to

ilgtermiņa efektivitāti, aizkavējot vai apturot kustību un valodas prasmju pasliktināšanos. Pētījumos tiks iekļauti bērni vecumā līdz 2 gadiem, par kuriem pašlaik nav datu.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Brineura* lietošanu?

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Brineura*, nodrošinās, ka visi veselības aprūpes speciālisti, kuri varētu lietot šīs zāles, saņem apmācības materiālu par zāļu lietošanu un izvairīšanos no problēmām ar ierīci, piemēram, infekciju vai nosprostojumu.

Turklāt zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Brineura* lietošanu.

Cita informācija par *Brineura*

Pilns *Brineura* EPAR teksts ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lai saņemtu sīkāku informāciju par ārstēšanu ar *Brineura*, izlasiet zāļu lietošanas instrukciju (kas arī ir EPAR daļa) vai sazinieties ar ārstu vai farmaceitu.

Retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu komitejas atzinuma kopsavilkums par *Brineura* ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).