



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

Sommarju tal-EPAR għall-pubbliku

Brineura

cerliponase alfa

Dan huwa sommarju tar-rapport pubbliku Ewropew ta' valutazzjoni ta' kif l-Aġenzija vvalutat il-medicina biex tirrakkomanda l-awtorizzazzjoni tagħha fl-UE u l-kondizzjonijiet ta' użu ta' Brineura.

Għal informazzjoni prattika dwar l-użu ta' Brineura għandhom jaqraw il-fuljett ta' tagħrif jew jikkuntattjaw lit-tabib jew lill-ispizjar tagħhom.

X Inhu Brineura u għal xiex jintuża

Brineura huwa medicina għall-kura ta' neuropacifuscinosis tat-tali (CAN) ta' tipu ereditarju li twassal għal ħsara progressiva fil-moħħ.

Peress li n-numru ta' pazjenti jkunsidrabli huwa baxx, il-Brineura għie kklassifikat bħala 'medicina orfni' (medicina li tintuża f'mard rari) fit-13 ta' Marzu 2013.

Brineura fih is-sustanza attiva cerliponase alfa.

Kif jintuża Brineura?

Brineura jiġi infuż direttament għol-moħħ. Qabel l-ewwel infużjoni, il-pazjent ikollu bżonn jagħmel operazzjoni biex jimpjanta apparat, li jibda minn barra r-ras ta' skeltru għal għol fil-moħħ fejn tasal il-medicina.

L-infużjonijiet jingħataw darba kull għimagħtejn minn professjonist fil-qasam tal-kura tas-saħħa b'għarfien dwar l-użu ta' Brineura. Sabiex jitnaqqas il-riskju ta' reazzjonijiet infużjoni, il-pazjenti jistgħu jingħataw medicini oħra qabel jew waqt il-kura bi Brineura jew l-infużjoni tista' tkun ta' aktar. Il-pazjenti jgħandhom jinfurmaw lill-ispizjar tagħhom.

Brineura jista' jinfuż b'riċetta ta' tabib għall-għol fil-moħħ.



Kif jaħdem Brineura?

Il-pazjenti b

tripeptidyl-peptidase-1 (TPP1). Is-sustanza attiva fi Brineura, cerliponase alfa, hija kopja ta TPP1 u tintuża bħala sostitut tal-enzima nieqsa.

Il-medicina tiġi infuża direttament għol-moħħ sabiex tevita l-barriera ematoencefalika, barriera protettiva li tisepara l-fluss tad-demem mill-moħħ, u tipprevjeni sustanzi bħal medicini, milli jidhlu fit-tessuti tal-moħħ.

X **benefi** **Brineura li ħargu mill**

Fi studji bikrija, Brineura ntwera li jnaqqas ir-rata li biha tiggrava l-marda kif imkejjel bi skala ta klassifikazzjoni standard.

Fi studju li fih 23 wild (età medja ta' 4 snin) ġew ikkurati bi Brineura għal kważi sena, 20 minnhom (87 %) ma esperjenzawx it-tnaqqis ta panti fil-ħiliet tal-moviment u fil-lingwi kif deher storikament f pazjenti li ma rċivewx kura.

Il-klassifikazzjoni saret minn tobbja li taw lill-pazjenti punteġġi individwali għall-ħiliet tal-moviment u fil-lingwi (fejn 0 ifisser l-aktar sever u 3 huwa normali). Punte għall-ħiliet tal-moviment u fil-lingwi ta pazjenti li ma rċivewx kura kienet ta 0.2, u ta pazjenti li rċevew Brineura kienet ta 1.4.

Fi studju ta segwitu, il-pazjenti li rċevew Brineura għal sena oħra, bir-tista ta għall-ħiliet tal-pazjenti. Dan l-istudju għadu għaddej.

X **riski** **Brineura?**

L-effetti sekondarji l-aktar komuni bi Brineura (li jistgħu jaffettwaw aktar minn 1 minn kull 5) huma deni, livelli baxxi ta proteini fil-CSF (ul fis-sinla tad-dahar), anormalitajiet fl-ECG (test tal-attività tal-qalb), remettar, infezzjonijiet fl-apparat respiratorju fin-naħa ta' fuq (infezzjonijiet tal-imnieher u tal-grizmejn), u reazzjonijiet (allerġiċi ta tagħrif, għall-ħiliet tal-effetti sekondarji kollha bi Brineura, ara l-fuljett ta tagħrif.

Brineura m għad li jkollha reazzjonijiet (allerġiċi) ta' sensitività eċċessiva ta bħall-ħiliet u li s-sintomi tagħrif u li s-sintomi tagħrif jidheru wkoll lil pazjenti. Dan m għad li jkollha reazzjonijiet (allerġiċi) ta' sensitività eċċessiva moħħ. Finalment, il-pazjenti m għad li jkollha reazzjonijiet (allerġiċi) ta' sensitività eċċessiva bħal tnixxija jew infezzjoni.

Għaliex ġie approvat Brineura?

Data disponibbli turi li Brineura jgħin biex idewwem it-tnaqqis fil-ħiliet tal-moviment u fil-lingwi f pazjenti b' CLN2, kundizzjoni li għaliha m' hemm

Fir-rigward tas-sigurtà tiegħu, id-data ma wriet l-ebda tħassib mhux aċċettabbli. Għalhekk, il-Kumitat għall-Prodotti Medicinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) tal-Aġenzija kkonkluda li l-benefi ċċji ta Brineura huma akbar mir-riskji tiegħu u rrakkomanda li jkun approvat għall-użu fl-UE.

Brineura għad li jkollha reazzjonijiet (allerġiċi) ta' sensitività eċċessiva. Għalhekk, il-Kumitat għall-Prodotti Medicinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) tal-Aġenzija Ewropea għall-Medicini ser tirrevedi kull informazzjoni ġdida li ssir disponibbli u dan is-sommarju jiġi aġġornat kif meħtieġ.

Liema informazzjoni ghadha mistennija għal Brineura?

Minhabba li Brineura gie approvat taht tipprovdi aktar data minn studji dwar is-sigurtà ta meta jintuza fit-tul, u dwar l-effikaċja tiegħu fit-tul biex idewwem jew iwaqqaf l-aggravar tal-ħiliet tal-moviment u fil-lingwi. L-istudji se jinkludu tfal taht l-età ta għalihom.

Il-kumpanija li tqiegħed Brineura fis-suq se

‘Bskjeuta, inkluż ir

’ reazzjonijiet

’ sentejn, li bħalissa

X Brineura?

‘użusigurgh effettiveta’du ‘biex jiġi zgurat l

Il-kumpanija li tqiegħed Brineura fis-suq se tiżgura li l-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa kollha li huma mistennija li jużaw din il-medi ċina jiġu pprovduti bl-jużawha u kif jevitaw problemi bl-apparat bħal infezzjoni jew sadd.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta

’ tagħrif ġew inklużi wkoll ir

rakkomandazzjonijiet u l-prekawzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta

’ Brineura.

Informazzjoni oħra dwar Brineura

L-EPAR sħiħ għal Brineura jinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Għal aktar informazzjoni rigward il-kura bi Brineura, aqra l-fuljett ta

‘EPAR’ f’epark wktalija’ lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

Is-sommarju tal-opinjoni tal-Kumitat għall-Prodotti Medċinali Orfni għal Brineura jinstab fis-sit

elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).