



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## EPAR-samenvatting voor het publiek

---

# Brineura

## cerliponase alfa

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Brineura. Het geeft uitleg over de wijze waarop het Geneesmiddelenbureau het geneesmiddel met het oog op vergunningverlening in de EU en vaststelling van de gebruiksvoorwaarden heeft beoordeeld. Het is niet bedoeld als praktisch advies voor het gebruik van Brineura.

Lees de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor praktische informatie over het gebruik van Brineura.

### **Wat is Brineura en wanneer wordt het voorgeschreven?**

Brineura is een geneesmiddel voor de behandeling van neuronale ceroidlipofuscinose type 2 (CLN2), een erfelijke aandoening bij kinderen die leidt tot progressieve hersenbeschadiging.

Aangezien het aantal patiënten met CLN2 klein is, wordt de ziekte als 'zeldzaam' beschouwd en werd Brineura op 13 maart 2013 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen).

Brineura bevat de werkzame stof cerliponase alfa.

### **Hoe wordt Brineura gebruikt?**

Brineura wordt via infusie rechtstreeks in de hersenen toegediend. Vóór de eerste infusie moet de patiënt een operatie ondergaan voor het implanteren van een hulpmiddel, dat loopt van de buitenzijde van de schedel tot in de vochtholte in de hersenen, waar het geneesmiddel wordt afgegeven.

De infusen worden om de twee weken eenmaal toegediend door een professionele zorgverlener die verstand heeft van het toedienen van geneesmiddelen in de hersenen. Om de kans op infusiegerelateerde reacties te verkleinen mogen de patiënten vóór of tijdens de behandeling met

---

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](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European Union



Brineura andere geneesmiddelen krijgen of mag het infuus langzamer worden toegediend. De behandeling kan doorgaan zolang de patiënt er baat bij heeft.

Brineura is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar. Zie de bijsluiter voor meer informatie.

## Hoe werkt Brineura?

Patiënten met CLN2 missen een voor normale hersenontwikkeling benodigd enzym met de naam tripeptidyl-peptidase-1 (TPP1). De werkzame stof in Brineura, cerliponase alfa, is een kopie van TPP1 en wordt gebruikt ter vervanging van het ontbrekende enzym.

Het geneesmiddel wordt via infusie rechtstreeks in de hersenen toegediend om de bloed-hersenbarrière te omzeilen, een beschermende barrière die de bloedstroom van de hersenen gescheiden houdt en voorkomt dat stoffen zoals geneesmiddelen in hersenweefsel terechtkomen.

## Welke voordelen bleek Brineura tijdens de studies te hebben?

In eerste studies is gebleken dat Brineura de snelheid vermindert waarmee de ziekte verergert (zoals gemeten met een standaardbeoordelingsschaal).

In een studie waarin 23 kinderen (gemiddelde leeftijd 4 jaar) gedurende bijna een jaar met Brineura werden behandeld, was bij 20 van de kinderen (87%) geen sprake van de afname met 2 punten in bewegings- en taalvaardigheden die historisch wordt waargenomen bij patiënten die geen behandeling krijgen.

De beoordeling werd uitgevoerd door artsen die patiënten individuele scores gaven voor bewegings- en taalvaardigheden (waarbij 0 voor 'ernstigst' en 3 voor 'normaal' staat). De uiteindelijke score van een patiënt was de som van de twee scores.

In een vervolgstudie hielden de gunstige effecten van Brineura gedurende nog eens een jaar aan, waarbij uit de resultaten bleek dat de ziekte bij de meeste patiënten kon worden vertraagd. Deze studie loopt nog.

## Welke risico's houdt het gebruik van Brineura in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Brineura (die bij meer dan 1 op de 5 mensen kunnen optreden) zijn koorts, lage eiwitconcentratie in cerebrospinaalvocht (het vocht in hersenen en ruggenmerg), afwijkingen in ECG (test m.b.t. hartactiviteit), braken, bovensteluchtweginfecties (neus- en keelinfecties) en overgevoeligheidsreacties (allergische reacties). Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle gerapporteerde bijwerkingen van Brineura.

Brineura mag niet worden gegeven aan patiënten die levensbedreigende overgevoeligheidsreacties (allergische reacties) op Brineura hebben vertoond en bij wie deze symptomen opnieuw optraden toen Brineura opnieuw werd toegediend. Het middel mag ook niet worden gegeven aan patiënten bij wie een 'shunt' is geïmplanteerd om extra vocht uit de hersenen af te voeren. Tot slot mogen patiënten geen Brineura krijgen terwijl er problemen zijn met het hulpmiddel, zoals lekkage of infectie.

## Waarom is Brineura goedgekeurd?

Uit de beschikbare gegevens blijkt dat Brineura helpt om de achteruitgang in bewegings- en taalvaardigheden te vertragen bij patiënten met CLN2, een aandoening waarvoor geen andere behandelingen bestaan.

Wat betreft de veiligheid van het middel, zijn er op basis van de gegevens geen onaanvaardbare bedenkingen. Het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) van het Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de voordelen van Brineura groter zijn dan de risico's en heeft geadviseerd dit middel voor gebruik in de EU goed te keuren.

Brineura is goedgekeurd 'onder uitzonderlijke omstandigheden'. Dit betekent dat het wegens de zeldzaamheid van de aandoening niet mogelijk was volledige informatie over Brineura te verkrijgen. Het Europees Geneesmiddelenbureau zal jaarlijks eventueel nieuw beschikbare informatie beoordelen en deze samenvatting zo nodig laten bijwerken.

### **Welke informatie wordt nog verwacht voor Brineura?**

Aangezien aan Brineura goedkeuring onder uitzonderlijke omstandigheden is verleend, zal het bedrijf dat Brineura in de handel brengt verdere gegevens uit studies naar de veiligheid van Brineura verstrekken, onder andere over het risico op allergische reacties bij langdurig gebruik en over de werkzaamheid op de lange termijn bij het vertragen of stoppen van verslechtering van bewegings- of taalvaardigheden. In de studies zullen kinderen jonger dan 2 jaar worden opgenomen, voor wie op dit moment geen gegevens beschikbaar zijn.

### **Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Brineura te waarborgen?**

Het bedrijf dat Brineura op de markt brengt zal ervoor zorgen dat alle professionele zorgverleners die dit geneesmiddel naar verwachting zullen gebruiken worden voorzien van trainingsmateriaal over het gebruik van het middel en het vermijden van problemen met het hulpmiddel, zoals infectie of verstopping.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Brineura, zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

### **Overige informatie over Brineura**

Het volledige EPAR en de samenvatting van het risicobeheerplan voor Brineura zijn te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lees de bijsluiter (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over de behandeling met Brineura.

De samenvatting van het advies van het Comité voor weesgeneesmiddelen over Brineura is te vinden op de website van het Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).