



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

---

### Brineura

cerliponaza alfa

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Brineura. Wyjaśnia, jak Agencja oceniła lek w celu przyjęcia zaleceń w sprawie przyznania pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu w UE oraz warunków jego stosowania. Jego celem nie jest zapewnienie praktycznej porady dotyczącej stosowania leku Brineura.

W celu uzyskania praktycznych informacji na temat stosowania leku Brineura, należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

### Co to jest produkt Brineura i w jakim celu się go stosuje?

Brineura jest lekiem stosowanym do leczenia ceroidolipofuscynozy neuronalnej typu 2 (CLN2), choroby dziedzicznej u dzieci, prowadzącej do postępującego uszkodzenia mózgu.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z CLN2 choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 13 marca 2013 r. produkt Brineura uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

Produkt Brineura zawiera substancję czynną cerliponazę alfa.

### Jak stosować produkt Brineura?

Lek Brineura jest podawany w postaci wlewów bezpośrednio do mózgu. Przed pierwszym wlewem pacjent musi przejść operację wszczępienia urządzenia, które prowadzi z zewnątrz czaszki przez komorę zawierającą płyn mózgowo-rdzeniowy w mózgu, dokąd lek jest dostarczany.

Wlewy podawane są raz na dwa tygodnie przez personel medyczny posiadający wiedzę w zakresie podawania leków do mózgu. W celu zmniejszenia ryzyka reakcji związanych z infuzją pacjenci mogą otrzymywać inne leki przed leczeniem produktem Brineura lub w trakcie tego leczenia, bądź też można zmniejszyć tempo podawania wlewu. Leczenie może być kontynuowane tak długo, jak długo pacjent odnosi z niego korzyści.

---

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



Lek Brineura wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza. Więcej informacji znajduje się w ulotce informacyjnej.

## **Jak działa produkt Brineura?**

Chorzy na CLN2 cierpią na niedobór enzymu wymaganego do prawidłowego rozwoju mózgu, zwanego tripeptydylo-peptydazą 1 (TPP1). Substancja czynna leku Brineura, cerliponaza alfa, jest kopią TPP1 i jest stosowana w zastępstwie brakującego enzymu.

Lek jest podawany w postaci wlewów bezpośrednio do mózgu w celu ominięcia bariery krew-mózg, bariery ochronnej oddzielającej krwiociąg od mózgu i zapobiegającej przedostawaniu się substancji takich jak leki do tkanki mózgowej.

## **Jakie korzyści ze stosowania produktu Brineura zaobserwowano w badaniach?**

We wczesnych badaniach udowodniono, że lek Brineura powoduje spowolnienie postępu choroby mierzonego z wykorzystaniem standardowej skali oceny.

W badaniu, w którym 23 dzieci (średnia wieku 4 lata) leczono lekiem Brineura przez niemal rok, u 20 (87%) z nich nie wystąpił 2-punktowy spadek funkcji ruchowych i mowy obserwowany historycznie u pacjentów nie otrzymujących leczenia.

Oceny dokonali lekarze, którzy przyznawali pacjentom indywidualną ocenę funkcji ruchowych i mowy (gdzie 0 oznacza najcięższe zaburzenia, a 3 oznacza stan prawidłowy). Końcowa ocena pacjentów była sumą tych dwóch ocen.

W badaniu obserwacyjnym korzyści ze stosowania leku Brineura utrzymywały się przez kolejny rok, przy czym wyniki wskazywały, że u większości pacjentów postęp choroby można opóźnić. Badanie jest nadal prowadzone.

## **Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Brineura?**

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Brineura (które mogą występować u więcej niż 1 na 5 osób) to gorączka, niski poziom białka w CSF (płynie w mózgu i rdzeniu kręgowym), nieprawidłowy zapis EKG (badania aktywności serca), wymioty, zakażenia górnych dróg oddechowych (zakażenia nosa i gardła) oraz reakcje nadwrażliwości (alergiczne). Pełny wykaz zgłaszanych działań niepożądanych związanych ze stosowaniem produktu Brineura znajduje się w ulotce informacyjnej.

Leku Brineura nie wolno podawać pacjentom, u których wystąpiły zagrażające życiu reakcje nadwrażliwości (alergiczne) na lek Brineura i u których nastąpił nawrót objawów po ponownym podaniu leku Brineura. Nie wolno go także podawać pacjentom z wszczepionym urządzeniem do odprowadzania nadmiaru płynów z mózgu. Ponadto pacjentom nie wolno podawać leku Brineura w przypadku problemów z urządzeniem, takich jak wyciek lub zakażenie.

## **Na jakiej podstawie zatwierdza się produkt Brineura?**

Dostępne dane wskazują, że lek Brineura pomaga w spowolnieniu utraty funkcji poruszania się i mowy u pacjentów z CLN2, chorobą, przeciw której nie istnieją inne sposoby leczenia.

W kwestii bezpieczeństwa, dane nie wskazują na żadne nieakceptowalne zagrożenia. Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) Agencji uznał, że korzyści płynące ze stosowania produktu Brineura przewyższają ryzyko, i zalecił jego dopuszczenie do stosowania w UE.

Lek Brineura dopuszczono do obrotu w wyjątkowych okolicznościach. Wynika to z faktu, że nie można było uzyskać pełnych informacji o leku Brineura z uwagi na rzadkie występowanie choroby. Co roku Europejska Agencja Leków dokona przeglądu wszelkich nowych informacji i w razie potrzeby uaktualni niniejsze sprawozdanie.

### **Jakich informacji brakuje jeszcze na temat produktu Brineura?**

W związku z tym, że produkt Brineura został dopuszczony do obrotu w wyjątkowych okolicznościach, firma wprowadzająca go do obrotu dostarczy dodatkowe dane z badań jego bezpieczeństwa, w tym dotyczące ryzyka reakcji alergicznych w przypadku długotrwałego stosowania oraz długotrwałej skuteczności w zakresie opóźnienia lub powstrzymania pogorszenia funkcji poruszania i mowy. Badania będą obejmowały dzieci w wieku poniżej 2 lat, dla których obecnie brak jest danych.

### **Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Brineura?**

Firma, która wprowadza lek Brineura do obrotu zapewni, aby fachowy personel medyczny, który ma podawać ten lek, otrzymał materiały edukacyjne na temat jego stosowania i sposobów unikania problemów związanych z urządzeniem, takich jak zakażenie lub blokada.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Brineura w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

### **Inne informacje dotyczące produktu Brineura**

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące produktu Brineura znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Brineura należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych, dotyczącej produktu Brineura znajduje się na stronie internetowej Agencji: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).