



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Resumo do EPAR destinado ao público

Brineura

cerliponase alfa

Este é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Brineura. O seu objetivo é explicar o modo como a Agência avaliou o medicamento a fim de recomendar a sua autorização na UE, bem como as suas condições de utilização. Não tem por finalidade fornecer conselhos práticos sobre a utilização do Brineura.

Para obter informações práticas sobre a utilização do Brineura, os doentes devem ler o Folheto Informativo ou contactar o seu médico ou farmacêutico.

O que é o Brineura e para que é utilizado?

O Brineura é um medicamento para o tratamento da ceroidlipofuscinose neuronal tipo 2 (doença CLN2), uma doença hereditária em crianças que leva a lesões cerebrais progressivas.

Dado o número de doentes afetados por CLN2 ser reduzido, a doença é considerada rara, pelo que o Brineura foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 13 de março de 2013.

O Brineura contém a substância ativa cerliponase alfa.

Como se utiliza o Brineura?

O Brineura é administrado por perfusão diretamente no cérebro. Antes da primeira perfusão, o doente terá de ser submetido a cirurgia para implantar um dispositivo, que vai da parte exterior do crânio até à cavidade de líquido no cérebro onde o medicamento é administrado.

As perfusões são administradas uma vez a cada duas semanas por um profissional de saúde com experiência na administração de medicamentos no cérebro. Para reduzir o risco de reações ligadas à perfusão, podem ser administrados outros medicamentos aos doentes, antes ou durante o tratamento



com o Brineura, ou a taxa de perfusão pode ser diminuída. O tratamento pode ser continuado enquanto se mantiver o benefício para o doente.

O Brineura só pode ser obtido mediante receita médica. Para mais informações, consulte o Folheto Informativo.

Como funciona o Brineura?

Os doentes com CLN2 têm falta de uma enzima necessária para o desenvolvimento normal do cérebro designada tripeptidil peptidase 1 (TPP1). A substância ativa do Brineura, a cerliponase alfa, é uma cópia da TPP1 e é utilizada como um substituto da enzima em falta.

O medicamento é administrado por perfusão diretamente no cérebro para contornar a barreira hematoencefálica, uma barreira protetora que separa a corrente sanguínea do cérebro e impede que substâncias como os medicamentos entrem no tecido cerebral.

Quais os benefícios demonstrados pelo Brineura durante os estudos?

Nos estudos iniciais, o Brineura demonstrou reduzir a taxa de agravamento da doença medida com uma escala de avaliação padrão.

Num estudo no qual 23 crianças (média de idades de 4 anos) foram tratadas com o Brineura durante quase um ano, 20 delas (87 %) não sofreram o declínio de 2 pontos nas aptidões de movimento e linguagem observado historicamente em doentes que não recebem tratamento.

A avaliação foi efetuada por médicos que atribuíram pontuações individuais aos doentes para as aptidões de movimento e linguagem (onde 0 significa mais grave e 3 é normal). A pontuação final de cada doente era a soma das duas pontuações.

Num estudo de seguimento, os benefícios do Brineura prolongaram-se por mais um ano, com os resultados a demonstrarem que a doença podia ser retardada na maioria dos doentes. Este estudo ainda está a decorrer.

Quais são os riscos associados ao Brineura?

Os efeitos secundários mais frequentes associados ao Brineura (que podem afetar mais de 1 em cada 5 pessoas) são febre, baixos níveis de proteínas no LCR (o líquido no cérebro e na medula espinal), anomalias no ECG (um exame da atividade cardíaca), vômitos, infeções do trato respiratório superior (infeções do nariz e da garganta) e reações de hipersensibilidade (alérgicas). Para a lista completa dos efeitos secundários comunicados relativamente ao Brineura, consulte o Folheto Informativo.

O Brineura é contraindicado em doentes que tenham sofrido reações de hipersensibilidade (alérgicas) potencialmente fatais associadas ao Brineura e cujos sintomas tenham voltado a ocorrer quando o Brineura voltou a ser administrado. É também contraindicado em doentes que tenham um dispositivo implantado para drenar o excesso de líquido do cérebro. Por fim, o Brineura é contraindicado nos doentes quando exista algum problema com o dispositivo, como fugas ou infeções.

Por que foi aprovado o Brineura?

Os dados disponíveis mostram que o Brineura ajuda a abrandar o declínio das aptidões de movimento e linguagem em doentes com CLN2, uma doença para a qual não existem outros tratamentos.

No que respeita à sua segurança, os dados não revelam nenhuma preocupação inaceitável. Por conseguinte, o Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) da Agência concluiu que os

benefícios do Brineura são superiores aos seus riscos e recomendou a sua aprovação para utilização na UE.

O Brineura foi autorizado em circunstâncias excepcionais. Isto significa que não foi possível obter informação completa sobre o Brineura devido à raridade da doença. A Agência Europeia de Medicamentos (EMA) procederá, anualmente, à análise de novas informações disponíveis e, se necessário, à atualização do presente resumo.

Que informação ainda se aguarda sobre o Brineura?

Dado o Brineura ter sido aprovado em circunstâncias excepcionais, a empresa que o comercializa o medicamento fornecerá mais dados de estudos sobre a segurança do medicamento, incluindo o risco de reações alérgicas quando utilizado a longo prazo, e sobre a sua eficácia a longo prazo no retardamento ou na interrupção do agravamento das aptidões de movimento e linguagem. Os estudos incluirão crianças com menos de 2 anos de idade, para as quais não existem dados disponíveis.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz do Brineura?

A empresa que comercializa o Brineura garantirá que é disponibilizado material de formação sobre como utilizar o medicamento e sobre como evitar problemas com o dispositivo, como infeções ou bloqueio, a todos os profissionais de saúde que se prevê venham a utilizar este medicamento.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz do Brineura.

Outras informações sobre o Brineura

O EPAR completo relativo ao Brineura pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Para mais informações sobre o tratamento com o Brineura, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

O resumo do parecer emitido pelo Comité dos Medicamentos Órfãos para o Brineura pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).