



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Rezumat EPAR destinat publicului

Brineura

cerliponază alfa

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru Brineura. Documentul explică modul în care agenția a evaluat medicamentul, pentru a recomanda autorizarea în Uniunea Europeană (UE) și condițiile de utilizare. Scopul documentului nu este să ofere recomandări practice referitoare la utilizarea Brineura.

Pentru informații practice privind utilizarea Brineura, pacienții trebuie să citească prospectul sau să se adreseze medicului sau farmacistului.

Ce este Brineura și pentru ce se utilizează?

Brineura este un medicament pentru tratarea lipofuscinozei ceroide neuronale de tip 2 (boala LCN2), o afecțiune ereditară la copii, care duce la deteriorarea progresivă a creierului.

Din cauza numărului mic de pacienți cu LCN2, boala este considerată „rară”, iar Brineura a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 13 martie 2013.

Brineura conține substanța activă cerliponază alfa.

Cum se utilizează Brineura?

Brineura se administrează direct în creier, sub formă de perfuzie. Înainte de prima perfuzie, pacientul trebuie să fie supus unei intervenții chirurgicale pentru a se implanta un dispozitiv care ajunge de la suprafața craniului la cavitatea cu lichid din creier, unde se administrează medicamentul.

Perfuziile se administrează o dată la două săptămâni, de către un profesionist în domeniul sănătății cu cunoștințe despre administrarea medicamentelor în creier. Pentru a reduce riscul de reacții declanșate de perfuzie, pacienților li se pot administra și alte medicamente înaintea sau în timpul tratamentului cu Brineura, sau se poate încetini ritmul de administrare a perfuziei. Tratamentul poate continua atât timp cât pacientul prezintă beneficii terapeutice.



Brineura se poate obține numai pe bază de prescripție medicală. Pentru mai multe informații, citiți prospectul.

Cum acționează Brineura?

Pacienților cu LCN2 le lipsește o enzimă necesară pentru dezvoltarea normală a creierului, numită tripeptidil peptidază-1 (TPP1). Substanța activă din Brineura, cerliponaza alfa, este o copie a TPP1 și se utilizează ca înlocuitor pentru enzima lipsă.

Medicamentul se administrează sub formă de perfuzie direct în creier pentru a se evita bariera hematoencefalică, o barieră protectoare care separă fluxul sanguin de creier și care împiedică substanțele, de exemplu medicamentele, să pătrundă în țesutul cerebral.

Ce beneficii a prezentat Brineura pe parcursul studiilor?

În studiile anterioare cu Brineura s-a demonstrat că medicamentul reduce rata de agravare a bolii, măsurată conform scalei standard de evaluare.

Într-un studiu în cadrul căruia 23 de copii (cu vârsta medie de 4 ani) au fost tratați cu Brineura timp de aproximativ un an, 20 dintre aceștia (87 %) nu au înregistrat scăderea cu 2 puncte a scorului mobilității și abilităților de vorbire, observată anterior la pacienții care nu primeau tratament.

Evaluarea a fost efectuată de medici care au punctat pacienții în mod individual pentru mobilitate și pentru abilitățile de vorbire (0 însemnând cel mai sever și 3 însemnând normal). Scorul final al unui pacient a fost format din suma celor două scoruri.

În urma unui studiu de monitorizare, a reieșit că beneficiile Brineura au durat timp de încă un an, rezultatele demonstrând că evoluția bolii a putut fi întârziată în cazul majorității pacienților. Acest studiu este încă în derulare.

Care sunt riscurile asociate cu Brineura?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Brineura (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 5) sunt febră, niveluri scăzute ale proteinelor din LCR (lichidul din creier și măduva spinării), anomalii ale ECG (un test de verificare a activității inimii), vărsături, infecții ale tractului respirator superior (infecții ale nasului și ale gâtului) și reacții de hipersensibilitate (alergice). Pentru lista completă a reacțiilor adverse raportate în asociere cu Brineura, citiți prospectul.

Brineura este contraindicat la pacienții care au prezentat reacții de hipersensibilitate (alergice) la acest medicament, care le-au pus viața în pericol, și la care simptomele au reapărut după reluarea administrării medicamentului. De asemenea, medicamentul este contraindicat la pacienții cărora le-a fost implantat un șunt pentru drenarea lichidului în exces din creier. În sfârșit, este contraindicată administrarea Brineura dacă există orice fel de probleme cauzate de dispozitiv, de exemplu scurgeri sau infecții.

De ce a fost aprobat Brineura?

Datele disponibile arată că Brineura încetinește deteriorarea mobilității și a abilităților de vorbire la pacienții cu LCN2, o afecțiune pentru care nu există alte tratamente.

În ceea ce privește siguranța medicamentului, datele disponibile nu prezintă niciun motiv inacceptabil de îngrijorare. Prin urmare, Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) al agenției a concluzionat că beneficiile Brineura sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat aprobarea utilizării sale în UE.

Brineura a fost autorizat în „condiții excepționale”. Aceasta se datorează faptului că, din cauza rarității bolii, nu s-au putut obține informații complete despre Brineura. În fiecare an, Agenția Europeană pentru Medicamente va analiza orice informație nou apărută, iar prezentul rezumat va fi actualizat, după caz.

Ce informații se așteaptă în continuare despre Brineura?

Având în vedere că Brineura a fost autorizat în condiții excepționale, compania care îl comercializează va furniza date suplimentare din studii privind siguranța Brineura, inclusiv în ceea ce privește riscul de reacții alergice la utilizarea pe termen lung și eficacitatea sa pe termen lung în privința întârzierii sau opririi deteriorării mobilității și a abilităților de vorbire. Studiile vor include și copii cu vârsta mai mică de 2 ani, pentru care în prezent nu există date.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Brineura?

Compania care comercializează Brineura se va asigura că toți profesioniștii din domeniul sănătății care se preconizează că vor utiliza acest medicament vor primi material didactic despre modul de utilizare a medicamentului și despre modalitățile de evitare a problemelor legate de dispozitiv, cum ar fi infecțiile sau blocarea.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Brineura, care trebuie respectate de profesioniștii din domeniul sănătății și de pacienți.

Alte informații despre Brineura

EPAR-ul complet pentru Brineura este disponibil pe site-ul agenției: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Brineura, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Rezumatul avizului Comitetului pentru medicamente orfane pentru Brineura este disponibil pe site-ul agenției: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.