



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Brineura

cerliponáza alfa

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Brineura. Vysvetľuje, akým spôsobom agentúra vyhodnotila liek s cieľom odporučiť jeho povolenie na uvedenie na trh v EÚ a podmienky jeho používania. Účelom tohto dokumentu nie je poskytnúť praktické rady o tom, ako používať liek Brineura.

Ak pacienti potrebujú praktické informácie o používaní lieku Brineura, nájdu ich v písomnej informácii pre používateľa alebo sa môžu obrátiť na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

Čo je liek Brineura a na čo sa používa?

Liek Brineura sa používa na liečbu neuronálnej ceroidnej lipofuscinozy 2. typu (ochorenia CLN2), dedičného ochorenia u detí, ktoré vedie k postupnému poškodzovaniu mozgu.

Keďže je počet pacientov s ochorením CLN2 nízky, ochorenie sa považuje za zriedkavé, a preto bol liek Brineura 13. marca 2013 označený za liek na ojedinelé ochorenia.

Liek Brineura obsahuje účinnú látku cerliponáza alfa.

Ako sa liek Brineura používa?

Liek Brineura sa podáva formou infúzie priamo do mozgu. Pred prvou infúziou pacient bude musieť podstúpiť operáciu na implantáciu zariadenia, ktoré prechádza z vonkajšej strany lebky do dutiny s tekutinou v mozgu, kam sa liek podáva.

Infúzie podáva každé dva týždne zdravotnícky pracovník, ktorý má vedomosti o podávaní liekov do mozgu. Na zníženie rizika reakcií súvisiacich s infúziou sa pacientom môžu pred liečbou alebo počas liečby liekom Brineura podať ďalšie lieky, alebo sa môže spomaliť čas podávania infúzie. Liečba môže pokračovať dovtedy, kým je pre pacienta prínosom.



Výdaj lieku Brineura je viazaný na lekársky predpis. Viac informácií sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Akým spôsobom liek Brineura účinkuje?

Pacienti s ochorením CLN2 nemajú enzým potrebný na normálny vývoj mozgu, ktorý sa nazýva tripeptidylpeptidáza-1 (TPP1). Účinná látka v lieku Brineura, cerliponáza alfa, je kópiou TPP1 a používa sa ako náhrada chýbajúceho enzýmu.

Liek sa podáva infúziou priamo do mozgu s cieľom obísť ochrannú krvno-mozgovú bariéru, ktorá oddeľuje krvný obeh od mozgu a bráni látkam, ako sú lieky, preniknúť do mozgového tkaniva.

Aké prínosy lieku Brineura boli preukázané v štúdiách?

V skorých štúdiách sa preukázalo, že liek Brineura znižuje rýchlosť, akou sa ochorenie zhoršuje, na základe štandardnej hodnotiacej stupnice.

V štúdií, v ktorej sa liečilo 23 detí (priemerný vek 4 roky) liekom Brineura takmer jeden rok, u 20 detí (87 %) sa nepozoroval pokles pohybových a rečových schopností o 2 body, ktorý sa v minulosti pozoroval u pacientov, ktorí liečbu nepodstúpili.

Hodnotenie vykonali lekári, ktorí pacientom prideliť individuálne skóre pre pohybové a rečové schopnosti (pričom 0 znamená najzávažnejší stav a 3 je normálny stav). Finálne skóre pacienta bolo súhrnom týchto dvoch skóre.

V sledovacej štúdií trvali prínosy lieku Brineura ďalší rok a na základe výsledkov sa preukázalo, že ochorenie sa môže oddialiť u väčšiny pacientov. Táto štúdia stále prebieha.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Brineura?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Brineura (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 5) sú horúčka, nízka hladina proteínu v CSF (tekutina v mozgu a mieche), abnormality v EKG (test aktivity srdca), vracanie, infekcie horných dýchacích ciest (infekcie v nose a hrdle) a reakcie z precitlivenosti (alergické reakcie). Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Brineura sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Liek Brineura sa nesmie podávať pacientom, u ktorých sa pri podávaní lieku Brineura vyskytli život ohrozujúce reakcie z precitlivenosti (alergické reakcie) a u ktorých sa symptómy vyskytli opäť, keď sa liek Brineura znova podal. Liek sa nesmie podávať ani pacientom, ktorí majú implantované vypúšťacie zariadenie na odvádzanie nadbytočnej tekutiny z mozgu. Pacientom sa nesmie podávať liek Brineura ani v prípade, že sú nejaké problémy so zariadením, ako je presakovanie alebo infekcia.

Prečo bol liek Brineura povolený?

Z dostupných údajov vyplýva, že liek Brineura pomáha spomaliť pokles pohybových a rečových schopností u pacientov s ochorením CLN2, na ktoré nie sú k dispozícii žiadne iné liečby.

Pokiaľ ide o bezpečnosť lieku, z údajov nevyplývajú žiadne neprijateľné obavy. Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) agentúry preto rozhodol, že prínosy lieku Brineura sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a odporučil udeliť povolenie na jeho používanie v EÚ.

Liek Brineura bol povolený za tzv. mimoriadnych okolností. To znamená, že pre zriedkavosť tohto ochorenia nebolo možné získať všetky informácie o lieku Brineura. Európska agentúra pre lieky každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie a podľa potreby aktualizuje tento súhrn.

Aké informácie o lieku Brineura dosiaľ neboli predložené?

Keďže liek Brineura bol povolený za mimoriadnych okolností, spoločnosť, ktorá liek uvádza na trh, predloží ďalšie údaje zo štúdií o bezpečnosti lieku Brineura vrátane rizika alergických reakcií, keď sa liek používa dlhodobo, a o dlhodobej účinnosti lieku pri oddialení alebo zastavení zhoršovania pohybových a rečových schopností. Na štúdiách sa zúčastnia deti mladšie ako dva roky, v prípade ktorých nie sú v súčasnosti k dispozícii žiadne údaje.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Brineura?

Spoločnosť, ktorá liek Brineura uvádza na trh, zabezpečí, aby všetci zdravotnícki pracovníci, ktorí pravdepodobne budú používať tento liek, dostali školiaci materiál o tom, ako liek používať a ako predchádzať problémom so zariadením, ako je infekcia alebo zablokovanie.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Brineura boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Ďalšie informácie o lieku Brineura

Úplné znenie správy EPAR o lieku Brineura sa nachádza na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Brineura, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľa (súčasť správy EPAR) alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnika.

Súhrn stanoviska Výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia k lieku Brineura sa nachádza na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.