



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Resumen del EPAR para el público general

---

# Brineura

## cerliponasa alfa

El presente documento resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) para Brineura. En él se explica cómo la Agencia ha evaluado el medicamento y ha emitido un dictamen favorable a la autorización de comercialización en la UE y sus condiciones de uso. No está destinado a proporcionar consejos prácticos sobre cómo utilizar Brineura.

Para más información sobre el tratamiento con Brineura, el paciente debe leer el prospecto (también incluido en el EPAR) o consultar a su médico o farmacéutico.

### ¿Qué es Brineura y para qué se utiliza?

Brineura es un medicamento para el tratamiento de la enfermedad lipofuscinosis neuronal ceroidea de tipo 2 (LNC2), una afección hereditaria infantil que produce lesiones cerebrales progresivas.

Dado que el número de pacientes afectados por la CLN2 es escaso, esta enfermedad se considera «rara», por lo que Brineura fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 13 de marzo de 2013.

Brineura contiene el principio activo cerliponasa alfa.

### ¿Cómo se usa Brineura?

Brineura se administra mediante perfusión directa en el cerebro. Antes de la primera perfusión, el paciente tendrá que someterse a una operación para implantar un dispositivo que conecte la parte exterior del cráneo con la cavidad cerebral que contiene líquido, que es donde se administra el medicamento.

Las perfusiones son administradas una vez cada dos semanas por un profesional sanitario con conocimientos sobre la administración de medicamentos en el cerebro. Para reducir el riesgo de reacciones relacionadas con la perfusión, se pueden administrar a los pacientes otros medicamentos



antes o durante el tratamiento con Brineura o se puede ralentizar el tiempo de perfusión. Se puede continuar con el tratamiento mientras resulte beneficioso para el paciente.

Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica. Para más información, consulte el prospecto.

## **¿Cómo actúa Brineura?**

Los pacientes con LNC2 carecen de una enzima llamada tripeptidil-peptidasa-1 (TPP1) que es necesaria para un desarrollo cerebral normal. El principio activo de Brineura, la cerliponasa alfa, es una copia de la TPP1 y se utiliza para sustituir a la enzima ausente.

El medicamento se administra mediante perfusión directa en el cerebro para evitar la barrera hematoencefálica, una barrera protectora que separa la circulación sanguínea del cerebro y que evita la entrada de sustancias como los medicamentos en el tejido cerebral.

## **¿Qué beneficios ha demostrado tener Brineura en los estudios realizados?**

En los estudios iniciales se ha demostrado que Brineura reduce la velocidad a la que empeora la enfermedad, que se determinó utilizando una escala de valoración normalizada.

En un estudio en el que 23 niños (media de edad de 4 años) fueron tratados con Brineura durante casi un año, 20 de ellos (un 87 %) no presentaron el descenso de 2 puntos en los dominios de la motricidad y el lenguaje observado generalmente en los pacientes que no reciben tratamiento.

La valoración fue realizada por médicos que asignaron a los pacientes puntuaciones individuales en los dominios de la motricidad y el lenguaje (el 0 indica un deterioro grave y el 3 indica normalidad). La puntuación final de cada paciente se obtuvo sumando las puntuaciones obtenidas en esos dos dominios.

En un estudio de seguimiento, los beneficios de Brineura se mantuvieron durante otro año y los resultados indicaron que fue posible retrasar la progresión de la enfermedad en la mayoría de los pacientes. Este estudio no ha finalizado todavía.

## **¿Cuál es el riesgo asociado a Brineura?**

Los efectos adversos más frecuentes de Brineura (pueden afectar a más de 1 de cada 5 pacientes) son fiebre, concentraciones bajas de proteínas en el LCR (el líquido del cerebro y la médula espinal), anomalías en el ECG (una prueba que mide la actividad del corazón), vómitos, infecciones de las vías respiratorias altas (infecciones de nariz y garganta) y reacciones de hipersensibilidad (alérgicas). Para consultar la lista completa de efectos adversos notificados sobre Brineura, vea el prospecto.

No debe administrarse Brineura a pacientes que hayan presentado reacciones de hipersensibilidad (alérgicas) potencialmente mortales con Brineura y cuyos síntomas hayan reaparecido al volver a administrar Brineura. Tampoco debe administrarse a pacientes a los que se haya implantado una derivación para drenar un exceso de líquido del cerebro. Por último, no se debe administrar Brineura en el caso de que haya problemas con el dispositivo, como una fuga o una infección.

## **¿Por qué se ha aprobado Brineura?**

Los datos disponibles indican que Brineura ayuda a retrasar el deterioro en los dominios de la motricidad y el lenguaje en pacientes con CLN2, una afección para la que no existe ningún otro tratamiento.

En cuanto a su seguridad, los datos no revelan ningún problema inaceptable. El Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia decidió que los beneficios de Brineura son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

Brineura se ha autorizado en «circunstancias excepcionales». Esto se debe a que no ha sido posible obtener información completa sobre Brineura debido a la rareza de la enfermedad. La Agencia Europea de Medicamentos (EMA) revisará anualmente la información nueva que pueda estar disponible y esta Ficha Técnica o Resumen de las Características del Producto (RCP) se actualizará cuando sea necesario.

### **¿Qué información falta todavía sobre Brineura?**

Dado que Brineura ha sido autorizado en circunstancias excepcionales, la compañía que lo comercializa proporcionará datos adicionales de estudios sobre la seguridad de Brineura, incluido el riesgo de reacciones alérgicas cuando se utiliza a largo plazo, y sobre su eficacia a largo plazo para retrasar o detener el deterioro en los dominios de la motricidad y el lenguaje. En los estudios se incluirá a niños menores de 2 años, sobre los que actualmente no se dispone de datos.

### **¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Brineura?**

La compañía que comercializa Brineura se asegurará de que todos los profesionales sanitarios que vayan a utilizar este medicamento reciban materiales de formación sobre la manera de utilizarlo y de evitar problemas con el dispositivo, como infección o bloqueo.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Brineura se han incluido también en la Ficha Técnica o Resumen de las Características del Producto y el Prospecto.

### **Otras informaciones sobre Brineura**

El EPAR completo de Brineura se puede consultar en la página web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Para mayor información sobre el tratamiento con Brineura, lea el prospecto (también incluido en el EPAR) o consulte a su médico o farmacéutico.

El resumen del dictamen del Comité de Medicamentos Huérfanos sobre Brineura se puede consultar en la página web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).