



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Povzetek EPAR za javnost

Brineura

cerliponaza alfa

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Brineura. Pojasnjuje, kako je agencija ocenila zdravilo, na podlagi česar je priporočila njegovo odobritev v EU in pogoje njegove uporabe. Povzetek ni namenjen zagotavljanju praktičnih nasvetov o njegovi uporabi.

Za praktične informacije o uporabi zdravila Brineura naj bolniki preberejo navodilo za uporabo ali se posvetujejo z zdravnikom ali farmacevtom.

Kaj je zdravilo Brineura in za kaj se uporablja?

Zdravilo Brineura se uporablja za zdravljenje bolnikov z nevronske ceroidno lipofuscinozo tipa 2 (CLN2), dedno boleznijo pri otrocih, ki povzroči hitro napredujočo okvaro možganov.

Ker je bolnikov s CLN2 malo, velja ta bolezen za redko, zato je bilo zdravilo Brineura 13. marca 2013 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni).

Zdravilo Brineura vsebuje zdravilno učinkovino cerliponaza alfa.

Kako se zdravilo Brineura uporablja?

Zdravilo Brineura se daje z infundiranjem neposredno v možgane. Pred prvim infundiranjem je treba operativno vsaditi pripomoček, ki poteka od zunanje strani lobanje do prostora z likvorjem v možganih, kamor se daje zdravilo.

Infuzije dajejo zdravniki, ki so usposobljeni za intracerebroventrikularno dajanje zdravil, in sicer enkrat na dva tedna. Za zmanjšanje tveganja za pojav reakcij, povezanih z infuzijo, lahko bolniki pred zdravljenjem z zdravilom Brineura ali med njim prejema druga zdravila ali pa se hitrost infundiranja upočasnijo. Zdravljenje se nadaljuje tako dolgo, dokler je za bolnika koristno.

Predpisovanje in izdaja zdravila Brineura je le na recept. Za več informacij glejte navodilo za uporabo.

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

An agency of the European Union



Kako zdravilo Brineura deluje?

Bolniki s CLN2 imajo pomanjkanje encima, ki se imenuje tripeptidil-peptidaza-1 (TPP1) in je potreben za normalen razvoj možganov. Zdravilna učinkovina zdravila Brineura, cerliponaza alfa, je kopija TPP1 in se uporablja kot nadomestilo za manjkajoči encim.

Zdravilo se infundira neposredno v možgane, da obide krvno-možgansko pregrado, zaščitno pregrado, ki loči krvni obtok od možganov in prepreči snovem, kot so zdravila, da bi prišla v možgansko tkivo.

Kakšne koristi je zdravilo Brineura izkazalo v študijah?

V zgodnjih študijah so dokazali, da je zdravilo Brineura upočasnilo poslabšanje bolezni, pri čemer so uporabili standardno klinično ocenjevalno lestvico.

V študiji pri 23 otrocih (povprečne starosti 4 leta), ki so se zdravili z zdravilom Brineura skoraj eno leto, 20 otrok (87 %) ni imelo upada za 2 točki pri motoričnih in govornih funkcijah, kot se je pokazalo pri bolnikih, ki zdravila niso prejeli.

Ocenjevanje so izvedli zdravniki, ki so bolnikom dali posamične ocene za motorične in govorne funkcije (kjer ocena 0 pomeni skrajno resno, ocena 3 pa normalno stanje). Bolnikova končna ocena je seštevek obeh ocen.

V kontrolni študiji so koristi zdravila Brineura trajale še eno leto, pri čemer so rezultati pri večini bolnikov kazali na odložitev napredovanja bolezni. Ta študija še poteka.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Brineura?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Brineura (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 bolniku od 5) so zvišana telesna temperatura, zmanjšana vrednost beljakovin v CSF (cerebrospinalnem likvorju in hrbtenjači), nenormalnosti na EKG (testu aktivnosti srca), bruhanje, okužbe zgornjih dihal (nosu in žrela) in preobčutljivostne (alergijske) reakcije. Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Brineura, glejte navodilo za uporabo.

Zdravilo Brineura se ne sme dajati bolnikom, ki so imeli življenje ogrožajočo alergijsko reakcijo na zdravilo Brineura in pri katerih se simptomi ob ponovni uporabi zdravila Brineura ponovijo. Ne sme se dajati tudi bolnikom, ki imajo vsajen šant za odvajanje odvečne tekočine iz možganov. Zdravilo Brineura pa se tudi ne sme dajati, kadar imajo bolniki kakršne koli težave s pripomočkom, kot sta puščanje ali okužba.

Zakaj je bilo zdravilo Brineura odobreno?

Razpoložljivi podatki kažejo, da zdravilo Brineura pomaga upočasniti upad motoričnih in govornih funkcij pri bolnikih s CLN2, boleznijo, za katero ni na voljo drugih možnosti zdravljenja.

V zvezi s podatki ni bilo nobenih nesprejemljivih zadržkov glede varnosti zdravila. Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) pri agenciji je zaključil, da so koristi zdravila Brineura večje od z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se odobri za uporabo v EU.

Zdravilo Brineura je pridobilo dovoljenje za promet „v izjemnih okoliščinah“. Do tega je prišlo zato, ker zaradi redkosti bolezni ni bilo mogoče pridobiti vseh informacij o njem. Evropska agencija za zdravila bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo, in posodobila povzetek glavnih značilnosti zdravila, če bo potrebno.

Katere informacije o zdravilu Brineura še pričakujemo?

Ker je zdravilo Brineura pridobilo dovoljenje za promet v izjemnih okoliščinah, bo družba, ki ga trži, priskrbela nadaljnje podatke iz študij o varnosti zdravila Brineura, vključno s podatki o tveganju za alergijske reakcije pri dolgotrajni uporabi in o dolgotrajni učinkovitosti pri odložitvi ali zaustavitvi poslabšanja motoričnih in govornih funkcij. Študije bodo vključevale tudi otroke, mlajše od 2 let, saj zanje trenutno ni podatkov.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Brineura?

Družba, ki trži zdravilo Brineura, bo za vse zdravstvene delavce, za katere se pričakuje, da bodo uporabljali to zdravilo, priskrbela izobraževalno gradivo o tem, kako uporabljati zdravilo in kako se izogniti težavam pri uporabi pripomočka, kot sta okužba ali zamašitev.

Priporočila in varnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Brineura upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za njegovo uporabo.

Druge informacije o zdravilu Brineura

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Brineura je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Brineura preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote o zdravilu Brineura je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).